SR Research Report
2014/6/10

ナノキャリア（4571）

当レポートは、掲載企業のご依頼により弊社が作成したものです。投資家用の各企業の『取扱説明書』を提供することを目的としています。正確で客観性・中立性を重視した分析を行うべく、弊社ではあらゆる努力を尽くしています。中立的でない見解の場合は、その見解の出所を常に明示します。例えば、経営側により示された見解は常に企業の見解として、弊社による見解は弊社見解として提示されます。弊社の目的は情報を提供することであり、何かについて説得したり影響を与えたりする意図は持ち合わせておりません。ご意見等がございましたら、sr_inquiries@sharedresearch.jp までメールをお寄せください。ブルームバーグ端末経由でも受け付けております。

目次

直近更新内容 4
概略 4
業績動向 7
事業内容 14
ビジネス 14
市場とバリューチェーン 32
経営戦略 36
過去の財務諸表 37
損益計算書 46
貸借対照表 47
キャッシュフロー 49
その他情報 50
沿革 50
ニュース＆トピックス 53
トップ経営者 77
従業員 78
大株主 79
配当および株主還元 79
ところで 80
用語集 80
企業概要 88

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

損益計算書（百万円）	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期	15年3月期 会社予想
売上高	**118**	**84**	**346**	**374**	**472**	**330**
前年比	-66.7%	-28.4%	310.7%	7.9%	26.3%	-30.1%
売上総利益	**47**	**33**	**221**	**101**	**290**	
前年比	-55.9%	-29.2%	566.4%	-54.4%	187.2%	
売上総利益率	39.8%	39.4%	63.9%	27.0%	61.4%	
営業利益	**-493**	**-520**	**-334**	**-527**	**-1,123**	**-1,955**
前年比	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-
経常利益	**-492**	**-550**	**-366**	**-432**	**-1,095**	**-1,929**
前年比	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-
当期純利益	**-495**	**-555**	**-398**	**-484**	**-1,114**	**-1,970**
前年比	-	-	-	-	-	-
純利益率	-	-	-	-	-	-
1株当たりデータ　（円、千株、株式分割調整						
期末発行済株式総数	12,858	22,089	23,494	32,531	40,265	
EPS	-38.7	-36.0	-17.4	-18.9	-30.4	
DPS	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	
BPS	78.7	83.6	77.8	135.3	336.9	
貸借対照表　（百万円）						
現金及び預金、有価証券	1,006	1,872	2,981	5,050	7,142	
売掛金	6	6	1	5	27	
たな卸資産	22	60	99	181	203	
流動資産合計	**1,066**	**1,981**	**3,112**	**5,473**	**7,589**	
資産合計	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**	
買掛金	11	2	5	50	40	
有利子負債	0	0	1,700	1,040	540	
負債合計	**121**	**189**	**1,804**	**1,205**	**744**	
株主資金	**1,012**	**1,848**	**1,829**	**4,353**	**13,563**	
ネット・デット	-1,006	-1,872	-1,281	-4,010	-6,602	
運転資本	17	65	95	136	190	
キャッシュフロー計算書　（百万円）						
営業キャッシュフロー	-452	-578	-293	-635	-1,098	
投資キャッシュフロー	-8	-5	-1,721	-121	-7,059	
財務キャッシュフロー	97	1,449	1,924	2,327	9,581	
財務指標						
ROA	-37.1%	-35.0%	-14.0%	-10.5%	-11.2%	
ROE	-40.1%	-38.8%	-21.7%	-15.7%	-12.4%	
純資産比率	89.4%	90.7%	50.7%	78.5%	94.8%	

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

直近更新内容

概略

2014 年 6 月 10 日、ナノキャリア株式会社との取材を踏まえ、2014 年 3 月期通期決算内容を更新した。

（詳細は 201 4 年 3 月期第通期決算の項目を参照）

2014 年 6 月 3 日、同社は、核酸デリバリー技術に関する物質特許が中国で特許査定を受けたと発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

同社によれば、siRNA などの核酸医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、中国特許庁から特許査定を受けた。同社は、次世代型プラットフォーム技術として、NanoFect®の研究開発に注力しており、国内に加えて、中国においても物質特許を確保できることとなる。

siRNA などの核酸は次世代型医薬品として注目される一方で、体内での安定性が極めて低いため、局所投与による治療が主流となっている。そのため、局所投与が困難な標的細胞に確実に導入するにはキャリアの利用が必要不可欠であり、優れたキャリアの開発が世界的に期待されている。同社は、NanoFect®システムの開発に注力し、３つのプロトタイプを確立した。当該発明は、同社独自技術となるシステム A に関する物質特許で、細胞への到達、侵入、放出までを制御する革新的キャリアシステムであるとのことである。

同社は、NanoFect®技術の優位性を製薬企業へ発信すると同時に、NanoFect®を用いた核酸医薬品の研究開発を推し進め、未だがん領域では成し得ていない画期的な核酸医薬品として、同社の将来を担うパイプラインとして製品化を目指すとしている。

2014 年 5 月 19 日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が欧州で特許査定を受けたと発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、欧州特許庁から特許査定を受けた。これにより、ポリマーミセル型タンパク医薬キャリアに関する次世代型プラットフォーム技術に適用可能な物質特許を、日本、米国に加え欧州でも確保できることとなる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2014 年 5 月 13 日、同社は 2014 年 3 月期通期決算を発表した。
（決算短信へのリンクはこちら）

2014 年 4 月 2 日、同社は、2014 年 3 月期通期業績予想の修正を発表した。
（リリース文のリンクはこちら）

2014 年 3 月期連結業績予想
売上高：471 百万円（前回予想 466 百万円）
営業利益：△1,126 百万円（同△1,174 百万円）
経常利益：△1,104 百万円（同△1,176 百万円）
当期純利益：△1,122 百万円（同△1,198 百万円）
1 株当たり当期純利益：△30.67 円（同△32.75 円）

修正理由
売上高については、NC-6004（ナノプラチン®）及び NC-6300（pH 応答性エピルビシンミセル）について、Orient Europharma Co., Ltd.からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入並びに治験薬供給収入、興和社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給及び契約収入等により、前回予想を上回る見込みであるという。

研究開発等に必要な費用については、NC-6004 及び NC-4016（ダハプラチン誘導体ミセル）の米国及び日本国内における臨床試験の実施、次世代医薬品候補パイプラインの拡充に向け、薬剤ターゲテイングの選択性を高める ADCM や siRNA などの研究開発等を進めたが、開発費を保守的に見込んでいた結果、営業損失は前回予想より改善する見込みである。

営業外収支に関して、期中に行った公募（グローバルファイナンス）による新株式発行及びオーバーアロットメントによる同社株式に関する第三者割当による新株式発行等に係る株式交付費 211 百万円を一括費用化した。一方、外国為替相場変動のため、外貨建て預金の評価替えにより生じた為替差益 224 百万円を営業外収益として見込んでいることから、経常損失も前回予想より改善する見込みである。

当期純損失については、固定資産の減損損失 16 百万円等を見込むものの、経常利益の修正により、前回予想より改善する見込みである。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

同日、同社は、2015 年 3 月期業績予想を発表した。
（リリース文のリンクはこちら）

2015 年 3 月期連結業績予想
売上高：330 百万円（2014 年 3 月期業績予想 471 百万円）
営業利益：△1,955 百万円（同△1,126 百万円）
経常利益：△1,929 百万円（同△1,104 百万円）
当期純利益：△1,970 百万円（同△1,122 百万円）
1 株当たり当期純利益：△53.85 円（同△30.67 円）

売上高については、2014 年 3月期と同様に、既に締結済の契約に基づく治験用製剤供給収入、化粧品材料供給収入、その他の契約収入を主な売上として予想しており、今後の事業開発活動の結果として発生する収入は含めていない。

研究開発については、2014 年 3月期に実施したグローバルファイナンスによる資金調達を踏まえ、自社開発を推進している NC-6004（ナノプラチン®）の国内 Phase I 試験、米国 Phase Ib/II 試験及び NC-4016（ダハプラチン誘導体ミセル)の米国 Phase I 試験を含めた日米、アジア地域における開発の促進・加速化を図る予定である。また、次世代医薬品候補として研究開発を推進している ADC や核酸医薬品については、現在国内外の企業とのフィージビリティスタディを開始しており、早期に研究成果をまとめ、共同開発を含め提携等の実現に向けステージアップを目指す。2015 年 3月期は、上記研究開発推進等により研究開発費を 1,599 百万円と見込んでいる。

研究および開発を早期に確実に推進するため、人材の確保に努めており、人員及び組織の強化も計画している。以上に加え、研究開発部門の連携及び経営体制・組織の強化を図るため、研究所機能を拡張するとともに、東京オフィスの開発及び管理部門と本社研究部門の機能統合を進めるべく、2014 年 6月に千葉県柏市内への移転を予定している。

3 ヵ月以上経過した会社発表はニュース＆トピックスへ

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

業績動向

四半期業績推移

	13年3月期				14年3月期				14年3月期	
（百万円）	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	（達成率）	通期会予
売上高	10	90	102	173	150	176	119	28	100.3%	471
前年比	120.1%	-56.5%	6064.4%	28.3%	1430.2%	96.4%	16.7%	-83.9%		26.0%
売上総利益	-30	40	62	28	98	125	53	14		
前年比	-	-79.1%	-	-65.6%	-	209.9%	-14.9%	-51.1%		
売上総利益率	-	45.2%	61.4%	16.1%	65.2%	71.4%	44.8%	48.9%		
販管費	149	128	157	194	375	349	336	352		
前年比	0.9%	-13.5%	21.7%	49.0%	151.8%	172.2%	114.6%	81.9%		
売上高販管費比率	1520.7%	143.3%	154.1%	112.1%	250.2%	198.7%	283.5%	1266.7%		
営業利益	-179	-88	-94	-166	-277	-224	-283	-339	-	-1,126
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-		-
経常利益	-179	-87	-88	-77	-190	-246	-197	-462	-	-1,104
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-		-
当期利益	-180	-88	-88	-128	-191	-246	-197	-479	-	-1,122
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
当期利益率	-	-	-	-	-	-	-	-		-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

**会社予想は直近の値。

2014 年 3 月期通期決算実績

2014 年 5 月 13 日、同社は 2014 年 3 月期通期決算を発表した。

売上高は、OEP 社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入並びに治験薬供給収入 195 百万円（前期は 103 百万円）、興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入 100 百万円（前期は 233 百万円）、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給収入 130 百万円等により、472 百万円（前期比 26.3%増）となった。

新規パイプライン探索活動強化と臨床治験の進捗に伴い、研究開発費は前期比 688 百万円増加し、926 百万円となった。その結果、営業損失は 1,123 百万円（2013 月期は営業損失 527 百万円）となった。

外国為替相場の変動による主に外貨建て預金の評価替えにより生じた為替差益 225 百万円、公募増資等に伴う株式交付費 211 百万円等により経常損失は 1,095 百万円（同経常損失 432 百万円）、当期純損失は 1,114 百万円（同当期純損失 484 百万円）であった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を 2012 年 7 月から開始し、順調に進捗している。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港およびシンガポールで転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験の治験届を行い、台湾においては投与を開始し、香港、シンガポールでも、治験届の承認を経て患者登録を開始した。また、OEP 社との間で中国本土及び韓国を第Ⅲ相臨床試験に追加することを決定し、韓国では治験届を行い、中国では治験届の準備を行っている。

日本・米国においては、自社開発による臨床試験を進めており、日本においては固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が 2012 年 10 月から進捗中であり、米国については、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）の治験届が承認され、米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターを含め複数の施設で患者登録及び投与を開始した。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験を開始しており、2013 年 12 月より米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターにおいて患者への投与が開始されている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における第Ⅰ相臨床試験が実施中で、2013 年 9 月から患者への投与が開始され、順調に進捗している。

新規開発パイプライン
抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させ、より選択性を高めたターゲティングを行うシステム ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）の開発を進め、新規低分子医薬品に加え、新規 siRNA などの核酸やタンパク質など高分子医薬品を安定化した NanoFect®システムなどの次世代医薬品候補の開発を行うために自社研究及び内外の製薬・バイオ企業や研究機関等との共同研究を進めている。

事業開発等の状況
事業開発活動については、2013 年 6 月に、同社の中核技術であるミセル化ナノ粒子の材料であるブロックコポリマーに関し、信越化学工業株式会社と共同研究契約を締結し、両社の技術を生かし、良質なブロックコポリマーの量産技術を確立することを目指した共同研究を開

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

始した。

その他

2012 年 7 月に締結したアルビオン社との共同開発契約に基づき、新たな化粧品（美容液）材料の開発を進め、2013 年 10 月から販売が開始された。また、2013 年 9 月に新たにアルビオン社と締結した共同開発契約に基づき、化粧品新分野での事業化に向け共同開発を進めている。

資金調達

2013 年 10 月に実施した公募（国内一般募集及び海外募集）による新株式発行により、8,651 百万円、同 11 月に実施したオーバーアロットメントによる第三者割当により、418 百万円を調達し、総額 9,069 百万円を調達した。その他、新株予約権の行使請求に伴う 24,270 株の新株発行により、727 百万円を調達した。

過去の四半期実績と通期実績は、過去の財務諸表へ

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2015 年 3 月期会社予想

15年3月期予想	14年3月期			15年3月期
（百万円）	上期	下期	通期	通期会予
売上高	**326**	**146**	**472**	**330**
前年比	228.0%	-46.6%	26.3%	-30.1%
売上原価	102	80	182	
売上総利益	**223**	**67**	**290**	
前年比	1976.9%	-26.0%	187.2%	
売上総利益率	68.5%	45.5%	61.4%	
販売費及び一般管理費	724	689	1,413	
売上高販管費比率	222.4%	470.1%	299.2%	
営業利益	**-501**	**-622**	**-1,123**	**-1,955**
前年比	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-
経常利益	**-436**	**-659**	**-1,095**	**-1,929**
前年比	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-
当期純利益	**-437**	**-676**	**-1,114**	**-1,970**
前年比	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2015 年 3 月期の会社予想に関して、売上高は、興和株式会社、OEP 社及びアルビオン社とのライセンス及び共同開発に関する契約に基づく製剤供給収入、化粧品材料供給収入、その他の契約収入等により、330 百万円（前期比 30.1%減）を見込む。同社によれば、興和社及び OEP 社に対する治験薬の売上計上を見込んでいるが、マイルストーン収入は想定していないという。また、アルビオン向け化粧品原材料の売上は減少を予想している。

研究開発費は、2014 年 3 月期の 926 百万円から 2015 年 3 月期には 1,599 百万円に増加する予定である。自社開発を進めているシスプラチン誘導体ミセル（NC-6004）及びダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の試験費用に加え、siRNA、ADCM など新規パイプラインの拡充、臨床開発への移行のための費用が増加する。

その結果、事業費用（売上原価と販売費及び一般管理費の合計額）は、前期比 690 百万円増の 2,285 百万円となる計画である。前期比での売上高減少と事業費用増加の結果、営業損失は 1,955 百万円（2014 年 3 月期営業損失 1,123 百万円）を予想している。

また、経常損失は 1,929 百万円（同経常損失 1,094 百万円）、当期純損失は 1,970 百万円（同当期純損失 1,113 百万円）を見込んでいる。

同社は、自社による臨床開発の推進・加速化と新規パイプライン拡大のための自社研究及び他の研究機関・製薬企業との研究推進により研究開発費用が増大する計画のため、営業赤字

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

等が拡大することを見込んでいる。

グローバルオファリングにより調達した資金を含め手元の資金を有効利用し、経営資源を活用しながら、引き続き、主要パイプライン（特にナノプラチン®（NC-6004）及びダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016））の自社開発の推進と加速化に注力するとともに、共同開発先との連携を深める方針である。

また、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させ、より選択性を高めたターゲティングを行うADCM の開発を進め、新規 siRNA など次世代医薬品候補の開発を行い、自社の新規開発パイプラインの研究充実を図るとともに、内外の製薬会社等との提携を推し進め、収益安定化を目指すとしている。

さらに、外部からの製品パイプラインの導入や企業買収など事業・商品ポートフォリオの拡大・成長による企業価値の最大化を目指す。

主要パイプラインの計画に関しては以下の通りである。

ナノプラチン®（NC-6004）
アジア地域において OEP 社と進めている第Ⅲ相臨床試験に関しては、台湾、香港、シンガポールに加え韓国、中国に臨床試験の地域を拡大し、加速化を図る。

また、欧米における、肺がん（非小細胞肺がん）を対象にした拡大臨床試験（第Ⅰ相ｂ/第Ⅱ相）、日本国内における第Ⅰ相臨床試験についても患者登録を進めるなど、自社開発及びライセンス先との共同開発によりグローバル開発を推進する予定である。

加えて、アジア地域においては OEP 社と共同で、頭頸部癌を対象とした臨床試験（第Ⅱ相/第Ⅲ相）の実施を目的とした IND 申請を計画している。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
テキサス大学 MD アンダーソンがんセンター（米国）で実施している固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験を引き続き進めている。

エピルビシンミセル（NC-6300/K-912）
興和株式会社とともに進めている固形がんを対象にした国内での第Ⅰ相臨床試験を引き続き推進する。

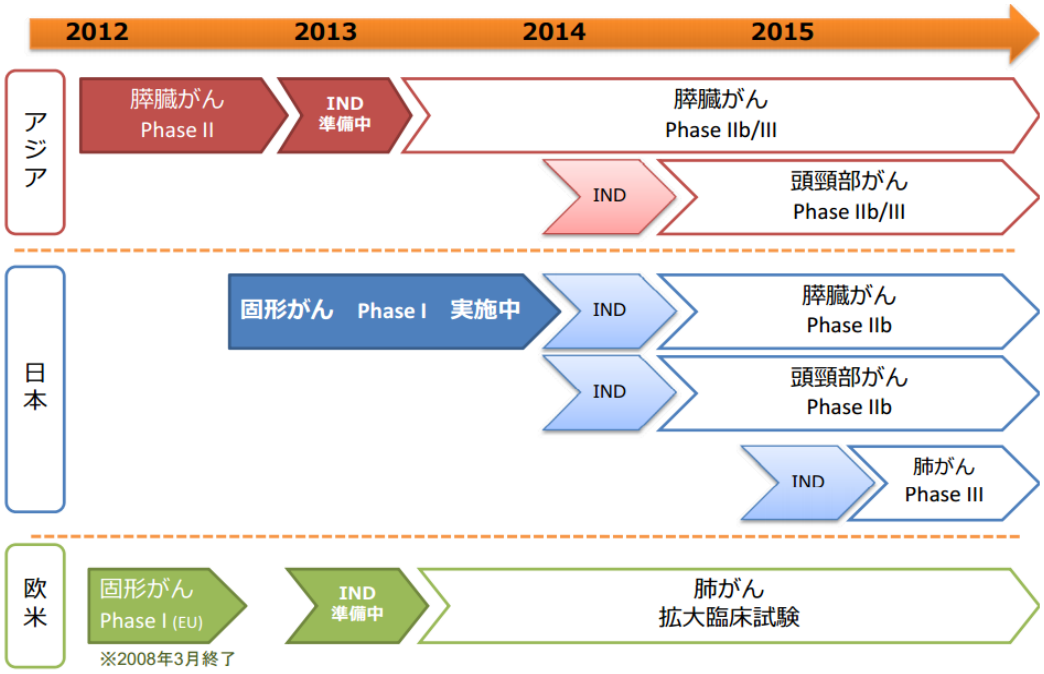
Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

将来展望

主要パイプラインの動向が収益増大への道筋をつけることになろうが、マイルストーン収入の性質上、支払い時期が定まらないことから、売上高は引き続き変動が予想される。

中期的な業績貢献として、SR 社が着目しているのは、ナノプラチン®（NC-6004）とダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）である。具体的には、ナノプラチン®（NC-6004）は、日本及び海外で自社による開発を進める予定。ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）は、第 II 相臨床試験終了後はライセンス先に導出を予定し、ライセンス先が開発費用を負担し、開発を進める予想を立てている。

NC-6004（ナノプラチン®）の開発スケジュール



出所：会社資料

費用面でいえば、2014 年 3 月期以降、ナノプラチン®（NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）を始めとした自社による臨床開発の推進・加速化と siRNA、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステム ADCM など新規パイプラインの拡充、臨床開発への移行のための研究開発費用が増加する計画である。研究開発費は 2013 年 3 月期の 238 百万円から 2014 年 3 月期には 926 百万円に増加した。さらに、2015 年 3 月期には 1,599 百万円に増加する計画としている。

上記研究開発費の増加に対応するために、同社は 2013 年 10 月に新株発行による資金調達を

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

行った。手取調達額は 9,069 百万円であった。同社によれば、資金使途は 2013 年 11 月から 2018 年 10 月までの主要開発パイプラインの一部及び新規開発パイプラインの試験研究その他の研究開発費用、その他の運転資金である。

一方、売上高に関しては、既存パイプラインの進捗に伴うマイルストーン収入や事業開発（ライセンスアウト）、新たな提携などを見込んでいる模様だ。特に注目されるのは、新薬承認申請・上市のタイミングとその後の売上動向であろう。

同社によれば、2014 年 5 月時点で、ナノプラチン®（NC-6004）の上市目標は 2019 年 3 月期としている。上市後の売上高はグローバルに年間 800 億円（1 ドル＝100 円換算で 8 億ドル）程度を目指したいとのことである。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

事業内容

ビジネス

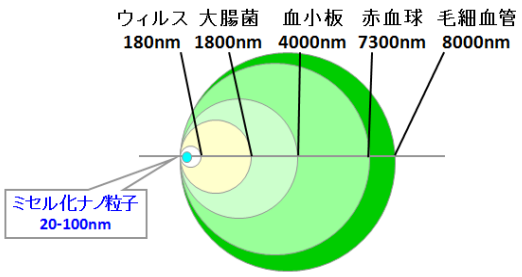
同社はミセル化ナノ粒子技術を用いたナノメディシンの開発を行う創薬ベンチャー企業である。

コア技術

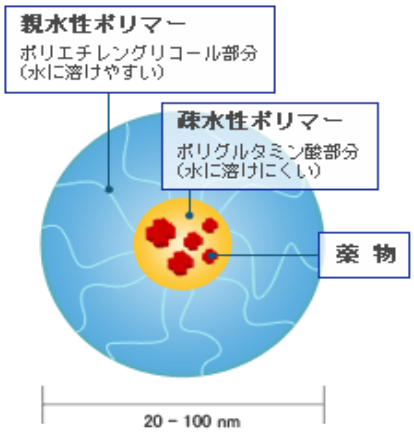
同社のコアとなる技術の「ミセル化ナノ粒子（高分子ミセル）」は、極微小なナノサイズ（1ナノメートル（nm）は 10 億分の 1 メートル）の粒子に薬を入れて体内に投与し、そのナノカプセルが病変部まで薬を運び、そこで薬物を放出させるというもので、DDS（Drug Delivery System：薬物送達システム）と呼ばれる手法である。

コアテクノロジー・フォーカス：ミセル化ナノ粒子技術

- ミセル化ナノ粒子は、水に溶けやすい性質を示すポリエチレングリコールから成る「親水性ポリマー」と水に溶けにくい性質を示すポリアミノ酸からなる「疎水性ポリマー」を一つの分子として結合させた「ブロックコポリマー（共重合体）」が基になっている
- ブロックポリマーを水中でかき混ぜると、外側が親水性ポリマーで内側が疎水性ポリマーという明確な二層構造を有する20～100ナノメートルサイズの球状の粒子（ミセル）を形成する。この粒子の内部（ポリアミノ酸部分）に薬物を封じ込めたもの（封入したもの）がミセル化ナノ粒子である



出所：会社資料



出所：会社資料

従来の抗がん剤は、がん化した増殖細胞と正常細胞の殺細胞効果には差がなく、全身に分布することにより正常細胞にも同様に作用する。そのため、投与されると一般的には副作用が

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

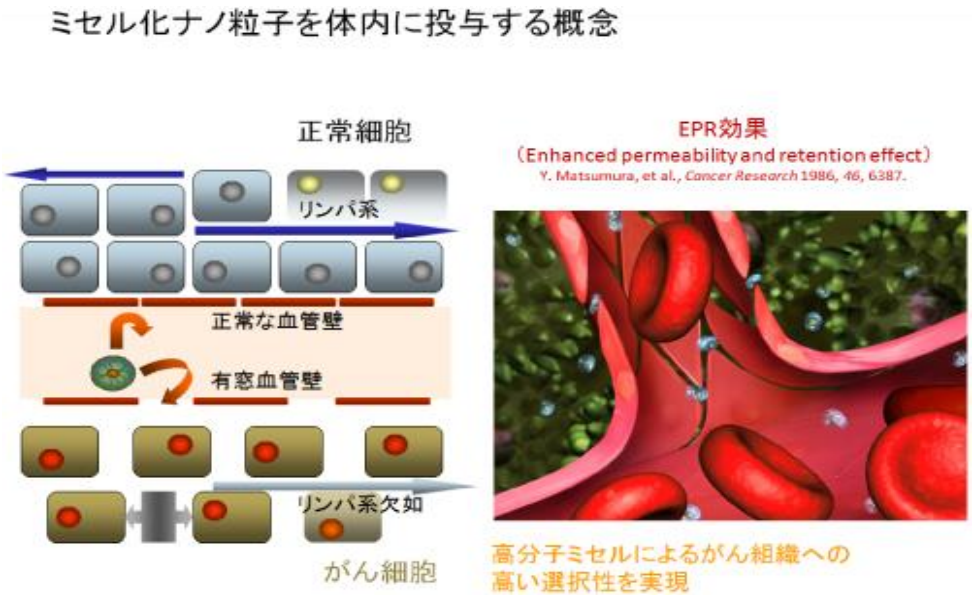
現れる。

一方、同社が開発するミセル化ナノ粒子医薬品では、長時間血液中を循環し、患部に集中的に作用するので、他の正常細胞への作用を抑え、投与量が増やせるために、薬による副作用リスクの高いがん治療にも有効とされる。また、薬物が効きにくい耐性がん（治療に反応しないがん）に対しても効果があることが実証されている。

ミセル化ナノ粒子技術の特長についてまとめると以下のようになる。

- **主要臓器に捕捉される量が少ない。**種々のサイズの粒子が血管内投与されると、3,000nm程度以上の大きな粒子は肺に、300nm程度以上の粒子は脾臓に、100nm程度以上の粒子は肝臓に捕捉されてしまうとされている。しかし、同社のミセル化ナノ粒子のような100nmより小さな粒子であればこれらの臓器に捕捉される量を減らし、血液を循環してがん細胞に到達することが可能となる。
- **長時間循環することが可能。**人体は体内に入り込んだ細菌などの異物を免疫機構によって排除することで知られているが、通常の医薬品を投与した場合もその影響を受ける。しかし、ミセル化ナノ粒子の表面を覆うポリエチレングリコールは免疫機構から異物と認識されにくい性質を持つことから、粒子を静脈内に注射した後、血液の中を長時間循環することが可能となり、薬の効き目が高まることが期待される。
- **がん細胞へのターゲティングを可能にする。**がん組織は正常組織とは異なり細胞の増殖が速く、細胞が多くの栄養を必要とするために新生血管が多く形成されるといわれている。このような新生血管は急激に形成されるため、血管を形成する細胞同士の間隔が正常細胞と比べて広く、透過性が高いため、100nm 以下のミセル化ナノ粒子が血液の中を循環するうちにポケットに入るかのようにがん組織に集積すると考えられている。一方、がん組織ではリンパ管が未発達なため、ミセル化ナノ粒子は血液循環中に戻れず、腫瘍組織に滞留し易い。つまり、到達した時とは違い粒子が容易にがん細胞から排出されない。これは一般に、EPR 効果（Enhanced Permeation and Retention Effect）と呼ばれている。腫瘍組織に特有の血管新生作用でもたらされるこの効果により、抗がん剤はがん細胞で長時間維持される。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved



（出所：会社資料）

同社では、1）NanoCap®システム、2）Medicelle®システム、3）NanoCoat®システムの3つのミセル化ナノ粒子システムを用途に応じて使い分けたり、組み合わせたりしている。これらのシステムによって、難溶性薬物の可溶化や薬物の滞留性向上特定部位へのターゲティング等が可能となる。

NanoCap®システム

ミセル化ナノ粒子の内側をポリアミノ酸にすることで、水に溶けない薬物をそのままの状態で封じ込めるシステム。ポリアミノ酸は、水に溶けにくい油のような特性を持つため、水に溶けない薬物を油に溶かすような原理で封じ込める。これによって難溶性薬物の溶解性向上を可能にする。

2）MediCelle®システム

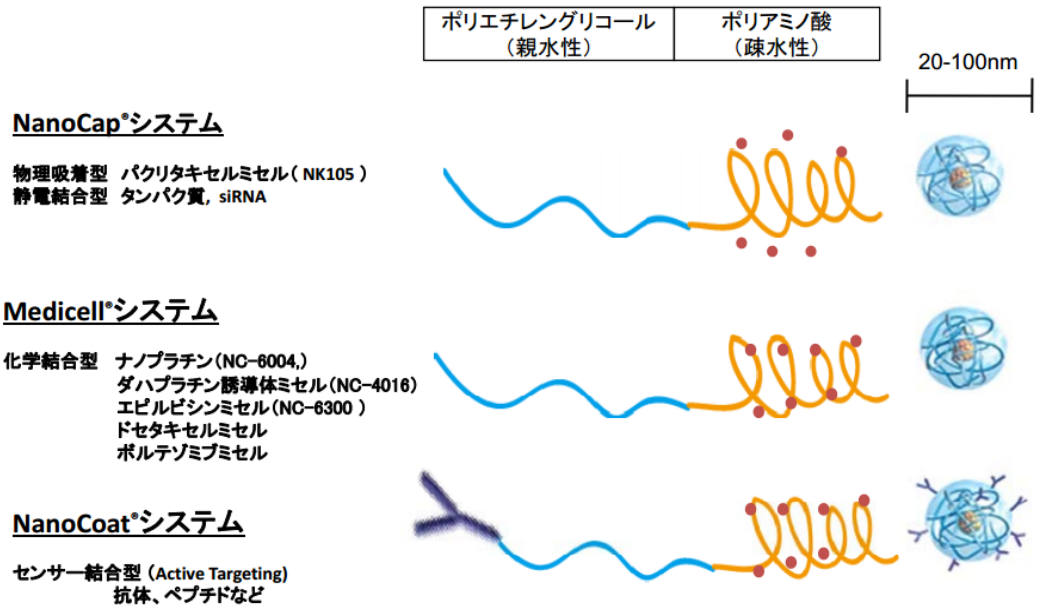
磁気結合または化学結合によって薬物を封入するシステム。一部の医薬品はプラスまたはマイナス電荷を有する。反対の電荷を帯びているポリマーを用いることによってこれらをミセル内に封じ込めたり、薬物とポリアミノ酸の一部を化学的に結合させてミセル化ナノ粒子に封じ込めたりするシステム。これによって、血液中の滞留性を向上させる効果がある。

3）NanoCoat®システム

薬物を封じ込めたミセル化ナノ粒子の表面に、がん細胞と選択的に結合するセンサーのような働きをする物質を付けることで効率良くがん細胞に結合させるシステム。センサーの役割を果たすものとして、抗体を使用することが可能である。特定部位へのターゲティング能力を強化する。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ミセル化ナノ粒子の各種システム



（出所：会社資料）

同社が権利を所有する主な特許（2014 年 3 月 31 日時点）

同社は、ミセル化ナノ粒子技術を特許などの知的財産として所有し、ナノテクノロジーを応用した製造技術を基盤に創薬の研究開発を進めている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

パイプライン	発明の名称	所有者	登録状況
パクリタキセルミセル（NK105）	難水溶性抗癌剤と新規ブロック共重合体を含むミセル調整物	ナノキャリア株式会社 日本化薬株式会社	日本、米国、欧州各国など21ヵ国で登録
	物理吸収型高分子ミセル	独立行政法人 科学技術振興機構	日本、米国、欧州各国など12ヵ国で登録
	薬物が封入されたポリマーミセルの製造方法及び該ポリマーミセル組成物	ナノキャリア株式会社	日本、米国、欧州各国など10ヵ国で登録
	薬物含有高分子ミセルの製造方法	ナノキャリア株式会社	日本登録 欧州各国など8ヵ国で登録 米国で審査中
	薬物含有高分子ミセルの凍結乾燥用組成物及びその凍結乾燥製剤	ナノキャリア株式会社	
ナノプラチン®（NC-6004）	シスプラチン内包高分子ミセル及びその使用	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国など23ヵ国で登録
	医薬組成物又は組合せ剤	ナノキャリア株式会社	米国で特許査定 日本、欧州など9地域で審査中
	シスプラチン配位化合物の液体組成物	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	欧州など2地域で特許査定 日本、米国など8地域で審査中
ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）	ジアミノシクロヘキサン白金(II)とポリ(カルボン酸)セグメント含有ブロック共重合体との配位錯体、その抗腫瘍剤	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国など24ヵ国で登録
	白金錯体のポリマー化配位化合物の製造方法	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	日本、米国など6ヵ国で登録 欧州にて特許査定 その他、3地域で審査中
	ジアミノシクロヘキサン白金(II)とブロック共重合体との配位化合物及びそれを含有する抗がん剤	国立大学法人東京大学	日本、欧州各国など8ヵ国で登録
タンパク質ミセル	静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤	株式会社東京大学TLO	日本、欧州各国など11ヵ国で登録 米国で審査中
	生理活性ペプチドまたはタンパク質内包高分子ポリマーミセルおよびその製造方法	ナノキャリア株式会社	米国で登録 日本、欧州など8地域で審査中
	易崩壊型ポリマーミセル組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など11地域で審査中
siRNA	静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤	株式会社東京大学TLO	日本、欧州各国など11ヵ国で登録 米国で審査中
	生物活性物質を担持するためのもしくは担持する微小粒子を含む組成物ならびにそれらの調製方法	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国を含む7ヵ国で登録
	ポリエチレングリコール-ポリカチオンブロック共重合体	国立大学法人東京大学	日本、米国、欧州各国など10ヵ国で登録
	非荷電性親水性ブロック及び側鎖の一部に疎水性基が導入されたカチオン性のポリアミノ酸ブロックを含んでなる共重合体、その使用	国立大学法人東京大学	日本、欧州など7地域で審査中 米国にて特許査定
	カオチン性のポリ(アミノ酸)およびその使用	国立大学法人東京大学	日本で登録 米国、欧州にて審査中
	粒子組成物及びこれを有する医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など7地域で審査中
	粒子状医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など7地域で審査中
	短鎖のカチオン性ポリアミノ酸およびその使用	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	日本で登録 米国、欧州にて審査中
センサー結合型ミセル	薬物内包アクティブターゲット型高分子ミセル、医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本など4ヵ国で登録 欧州にて特許査定 米国など3地域で審査中
pH応答性ミセル	pH応答性高分子ミセルの調整に用いる新規ブロック共重合体及びその製造方法	国立大学法人東京大学	日本で審査中
	薬剤複合体用ブロック共重合体及び医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本、欧州各国など17ヵ国で登録 米国など5地域で審査中
ドセタキセルミセル	ドセタキセル高分子誘導体、並びにその製造方法及びその用途	ナノキャリア株式会社	日本、欧州各国など14ヶ国で登録 米国など7地域で審査中
ボルテゾミブミセル	ボロン酸化合物を含有したブロック共重合体を含む医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 PCT出願中

（出所：会社資料よりSR社作成）

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

パイプライン

パイプライン開発の進捗状況とスケジュール（2014 年 3 月時点）

品目	対象患者	ステージ	地域		状況	上市目標	適応拡大計画	開発形態/企業
パクリタキセルミセル NK105	乳がん	PⅢ	日本・アジア		患者投与中 （2012年7月～）	2015年度 NDA申請予定*	胃がん	ライセンス 日本化薬
ナノプラチン NC-6004	膵がん	PⅢ	アジア	台湾	患者投与中 （2014年2月～）	2018年度予定	頭頸部癌	共同開発 OEP
				シンガポール	患者登録中			
				香港	患者登録中			
				韓国	IND申請中			
				中国	IND準備中			
	肺がん	PⅠb/Ⅱ	米国		患者投与中 （2014年5月～）	2020年度予定		自社開発
	固形がん	PⅠ	日本		患者投与中 （2012年10月～）	2020年度予定	膵がん 肺がん 頭頸部癌	自社開発
ダハプラチン NC-4016	固形がん	PⅠ	米国		患者投与中 （2013年10月～）	2024年度予定	大腸がん想定 （日、米、欧）	自社開発
エピルビシンミセル NC-6003/K-912	固形がん	PⅠ	日本		患者投与中 （2013年9月～）	2024年度予定	乳がん想定 （日、米、欧）	共同開発 興和

*日本化薬の資料から

出所：会社資料

開発中のパイプラインはパクリタキセルミセル（NK105）、ナノプラチン®（NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）及びエピルビシンミセル（NC-6300)の主要パイプライン 4 品目と、siRNA、ADCM などの新規開発パイプラインである。

パクリタキセルミセル（NK105）

パクリタキセル（タキソール®）は、卵巣がん、肺がん、乳がん、胃がんなどの適応症で世界的に普及している抗がん剤である。水に溶けにくいため、アルコールを基にした特殊な溶媒が使用されている。薬物による副作用に加えて、これら溶媒による副作用も生じる。そのため、投与時に副作用軽減のために補助薬剤（ステロイド剤や抗ヒスタミン剤）を投与するなど医療現場での使い難さが指摘されている。同社は、ミセル化ナノ粒子技術（NanoCap®システム）により、パクリタキセルを封入したミセル化ナノ粒子を製造することに成功した。これがパクリタキセルミセル（NK105）である。

同社は日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）とミセル技術を用いてパクリタキセルを改善する共同研究を実施。その後、日本化薬社はその研究結果に基づきパクリタキセルミセル（NK105）を開発する決定をし、2002 年 6 月に同社から技術ライセンスを受けた。これにより、日本化薬社は日本とアジアにおける独占販売権および世界のその他の国々における非独占的販売権を得た。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

肝臓がんを対象とした臨床試験

第 I 相臨床試験は、2004 年 5 月から 2006 年 4 月にかけて国立がんセンター中央病院で行われ、良好な結果が得られた。Drug Delivery System 誌ニュースレター（24-1、2009 年）によれば、パクリタキセルミセル（NK105）の AUC（曲線下面積、血液濃度対時間の曲線下の面積）は、従来のパクリタキセルよりも 15 倍大きかった（パクリタキセルミセル（NK105）の推奨用量は 150mg/sq.m であるのに対してパクリタキセルの通常用量は 210mg/sq.m であった）。数名の患者には 4 週間以上も症状の安定がみられ、1 名の転移性肝臓がん患者では明らかな肝転移の縮小がみられた。

日本化薬社は、2007 年 11 月に第 II 相臨床試験を開始した。第 II 相臨床試験での主な目的は、延命に寄与するか否かの確認に加え、薬効と安全性を証明することにあった。特に長期間投与した場合、パクリタキセルミセル（NK105）はパクリタキセルよりも低い毒性を示すことが期待されている。パクリタキセルに比べ良好な AUC 指標と合わせ低い毒性が実証されれば、パクリタキセルミセル（NK105）がパクリタキセルの代替となる道が開けるかもしれない。

乳がんを対象に第Ⅲ相臨床試験

タキソール®が標準療法である乳がんを対象とした治験も、2010 年 8 月より第 I 相臨床試験が開始された。その後、日本化薬社は、2012 年 7 月より転移・再発乳癌を対象とした第 III 相比較臨床試験を開始（第 II 相臨床試験は上記結果をもってスキップ）した。本試験は、転移・再発乳癌を対象に、パクリタキセル製剤群と NK105 群の有効性、安全性を比較する無作為化・多施設国際共同試験で、主要評価項目は無増悪生存期間。目標症例数は 380 例で、試験期間は 2 年半を予定しているという。日本化薬社資料によれば、2015 年度（2016 年 3 月期）の NDA（New Drug Application：新薬承認申請）を予定しているという。

パクリタキセルミセル（NK105）の市場規模、業績貢献

現時点では推測の域を出ないが、パクリタキセルミセル（NK105）がパクリタキセルの優れた代替品となることが証明された場合、現在主流となっている超大型薬タキソテールの競合品となる可能性があると SR 社は見ている。タキサン系では 30%の世界市場占有率は約 14 億米ドルの売上に相当する。ロイヤリティ水準 2～2.5%と仮定すれば、28 百万ドル強の売上高を同社にもたらす可能性がある（ロイヤリティは SR 社の想定、参考目的のみ。同社は潜在売上高やロイヤリティについてコメントしていない）。

ナノプラチン®（NC-6004）

ナノプラチン®（NC-6004：シスプラチン誘導体ミセル）は、同社のミセル化技術を抗がん剤のシスプラチンに応用して開発した薬物である。同社によれば、ナノプラチン®（NC-6004）のターゲットとなる膵がんの患者数は約 19 万人、売上高を概ね年間 800 億円と推定してい

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

るとのことである。

シスプラチンは、その薬効により各領域のがん化学療法の中心的薬剤となっている。その一方で、シスプラチンは重篤な嘔吐を引き起こし、投与の際には長時間にわたる大量の輸液が必要とされ、QOL（Quality of Life、患者の生活の質）の著しい低下をもたらす。また、腎機能障害や神経毒性などの副作用があり、治療の中止や延期を招いてきた。

同社は、シスプラチンが持つこれらの副作用を軽減し、かつ抗腫瘍効果の増強も期待できる新薬の開発を目指し、新規のブロックポリマーと結合させた新規化合物であるナノプラチン®（NC-6004）を調製した。

非臨床試験の結果、薬物の徐放性、がん組織への蓄積性、腎毒性の軽減及び神経毒性の軽減が認められたため、同社は 2006 年 5 月より英国で第 I 相臨床試験を開始した。しかし、主に新規株式公開前から公開後にかけて株式市場の低迷が原因で十分な資金調達ができなかったため、欧州において次の段階の臨床試験を続けることを断念。より低コストのアジア地域で次の臨床試験を進展させざるを得なくなった。

最終的に、同社は台湾に拠点を置く医薬品・化粧品製造輸入企業、Orient Europharma Co., Ltd（以下、OEP 社）にナノプラチン®（NC-6004）をライセンスアウトし、アジア地域（日本、中国、インドを除く）、オセアニアでの独占権を与えることとなった。OEP 社は、臨床試験費用の半額を負担すると同時にナノキャリアから薬剤を販売価格の一定割合の値段で購入する。

更に、2012 年 11 月、OEP 社に対し、全世界を対象とする製造権を付与する新たなライセンス契約、OEP 社の子会社に対する同社の将来の出資契約、をそれぞれ締結した。当該契約において、膵臓がんを含め、アジア地域における NC-6004 の開発に関しては、今後は OEP 社が主体となり、同社は共同開発の立場で協力する。開発費用については OEP 社が負担する。また、OEP 社は、今後、非独占製造権に対する対価として、開発、販売の段階に応じて同社に対し、総額 800 百万円のマイルストーンを支払う他、販売数量に応じたロイヤルティーの支払いを行う。さらに、同社は製造に必要な原料を供給し、OEP 社はこれに対する対価を支払うことが定められている。その他、OEP 社への製造権付与に伴い、OEP 社は台湾で医薬品製造子会社を設立して製造工場の建設を予定であり、同社は当該子会社に出資する。OEP 社は 2013 年 9 月に OP Nano 社を設立、同社は OP Nano 社に対し、29.5 百万円台湾ドルを出資した。工場の完成は 2016 年 12 月を予定している。

> 台湾政府は、バイオ・医薬産業の国家レベルでの振興を目的に 2012 年 8 月 31 日に新たな産業振興のためのガイドラインを発表しており、このガイドラインをもとに、台湾食品薬物管理局（TFDA: Taiwan Food and Drug Administration）および経済部工業局（IDB: Industrial Development Bureau, Ministry of Economic Affairs）などは、台湾の国内企業が新薬の研究開発を行う場合に、医薬品の早期

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

承認取得や薬価の優遇をはじめ、様々な規制をできる限り緩和するととともに、援助策を講じる方針を打ち出している。今回、両社が締結したライセンス契約の内容は、当該振興・援助策の適用を受ける基準を満たしており、NC-6004 の開発・承認の迅速化、早期化の促進に大きく貢献するものと期待しているとのことである。また、台湾・中国間での協議の進展次第では、今後、上記の製造子会社を通じて、中国市場へアプローチできる可能性も高まったという点で本契約の意義は大きいとも述べている。

ナノプラチン®（NC-6004）の開発進捗状況

OEP 社は、台湾およびシンガポールにおいて第 I 相/第 II 相臨床試験を実施、膵がんに標準治療薬として使われているゲムシタビンとの併用療法が進められた。

同社は 2013 年 6 月にナノプラチン®（NC-6004）について、第 I/II 相試験が終了し、アジア地域を対象とした第Ⅲ相臨床試験に関する治験計画届書を、TFDA（Taiwan Food and Drug Administration:台湾食品医薬品局）に提出したことを発表した。

第 I 相/第 II 相臨床試験では、安全性に関して、シスプラチンに特有の腎障害、消化管毒性、神経障害、聴覚障害などは、発生頻度・程度共に低く、大量の電解質補液の投与（Hydration）なしで、シスプラチン製剤で知られている腎障害は効果的に低減できることが確認された。

有効性に関しては、既存治療（アブラキサン及びゲムシタビン）の文献値と比較してほぼ同等であった。当該治験ではシスプラチンを用いる標準治療で行われる一般的な大量の電解質補液の投与（Hydration）処置を行わずに実施したため、ナノプラチン®（NC-6004）投与時に軽い腎障害が検知された。その結果、ナノプラチン®（NC-6004）の投与量を半減する措置が 7 件の症例で実施されていたことが影響している可能性が考えられるとしている。第Ⅲ臨床試験においては、ナノプラチン®（NC-6004）投与量の減量の要因となっている腎障害に対し、少量のハイドレーションを追加することで、有効性データの向上を図る。

第Ⅲ相臨床試験は、OEP 社主導で、台湾において 2014 年 2 月に患者への投与が開始された。また、2014 年 5 月現在、シンガポール、香港において患者を登録中である。さらに、韓国では治験届を行い、中国では治験届の準備を行っている。局所進行性または転移性膵がん患者に対し、ナノプラチン®（NC-6004）及びゲムシタビン併用療法とゲムシタビン単独療法との比較検証試験を、症例数 300 例を対象に行う予定としている。アジアにおいては、第Ⅲ相臨床試験の期間は約 3 年の予定であり、2018 年度（2019 年 3 月期）の上市を目標としている。

加えて、アジア地域においては OEP 社と共同で、頭頸部癌を対象とした臨床試験（第Ⅱ相/第Ⅲ相）の実施を目的とした IND 申請を計画している。

日本国内においても、自社開発により、2012 年 10 月に固形がんを対象に第 I 相臨床試験を開始した。標準治療薬として使われているゲムシタビンとの併用療法が進められており、目

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

標症例数は 10 数例、試験期間は約 2 年の予定とされている。日本において 2020 年度（2021 年 3 月期）の上市を目標としている。

さらに、グローバル展開を計画しており、米国において 2014 年 5 月にに肺がん（非小細胞肺がん）を対象とし、ＰＩｂ/Ⅱ試験が開始された。試験期間は約 2 年の予定である。米国では 2020 年度（2021 年 3 月期）の上市を目標としている。ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）は、オキザリプラチンが生体内で代謝されて生じるダハプラチンをブロックポリマーと結合させ、ミセル化ナノ粒子に封入した薬物である。

オキザリプラチンは、国際的に大腸がんの標準的薬剤として成功を収めている抗がん剤だが、嘔吐、末梢神経障害（手足のしびれといった症状）などの深刻な副作用を引き起こすことが知られており、治療中止の大きな要因となっている。オキザリプラチンは、いったん体内に入ると、がん細胞の繁殖を抑える効果のある（抗がん活性のより強い）ダハプラチン誘導体へと変換される。同社は、ダハプラチンをミセル化ナノ粒子へ結合・封入(MediCelle®システム)することで、オキザリプラチンが持つ副作用を軽減し、かつ抗腫瘍効果の増強も期待できると考えている。

Debiopharm 社との共同開発は 2011 年 3 月に契約終結

同社は 2005 年 3 月に、オキザリプラチンを開発した Debiopharm S.A.と、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）についての共同研究を経て、2009 年 3 月に、ライセンス及び供給契約を締結した。その後、Debiopharm 社により欧州で第Ⅰ相臨床試験が実施されていたが、2011 年 3 月に契約を終結した。同社これまで、Debiopharm 社から、当該契約に基づくアップフロント収入及び治験用製剤の供給による販売収入並びに第 Ⅰ 相臨床試験開始に伴うマイルストーン収入等を得ている（なお、同社が 2012 年 3 月期以降、新たな提携先とライセンス契約を締結した場合、同社は受領したマイルストーン収入の一部を Debiopharm 社に支払うこととなっている）。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）は、これまで、固形がん患者 48 例に投与され、28.8mg/㎡の用量まで進んだ。

米国において第Ⅰ相臨床試験を開始

固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験を開始しており、2013 年 12 月より米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターにおいて患者への投与が開始されている。同社は 2024 年度（2025 年 3 月期）の上市を目標としている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）に関しては、第Ⅱ相臨床試験までを同社単独で試験を行い、その後は共同開発またはライセンスアウトの開発形態を採ることで、開発費負担の

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

軽減、マイルストーン収入、ロイヤリティ収入の獲得を狙っている SR 社は予想する。

エピルビシンミセル（NC-6300）

エピルビシンは、アントラサイクリン系の抗がん剤で、DNA のらせん構造の間に入り込んでその合成を阻害すると共に、酵素の働きを抑制して、DNA を切断する。適用対象は広く、中でも乳がんの治療において重要な役割を担っている。一方、副作用として最も問題となっている心毒性について、ミセル化により軽減することが示されている。

エピルビシンミセル（NC-6300）は、東京大学・片岡教授らが基本的なコンセプトを確立した pH 応答性ミセルシステムを同社が導入して改良・開発したものである。同社によれば、ミセルにより細胞内に取り込まれた後に pH が低下し、エピルビシンが細胞内に爆発的に放出される画期的なシステムであり、基礎研究ではアントラサイクリン系薬物に耐性を獲得したがんにも効果があることが確認されている。

NC-6300 の動物実験では、血中滞留性が大幅に改善され、がん細胞への集積が高まっていることも示されている（参考文献：Improved anti-tumor activity of stabilized anthracycline polymeric micelle formulation , NC-630：M.Harada, I.Bobe, H.Saito, N.Shibata, R.Tanaka, T.Hayashi, Y.Kato, Cancer Science 102 (1) 192-199 (2011)）。また、同社によれば、ヒト肝がんモデル実験では、腫瘍がほとんど消滅し、ヒト乳がんモデル実験でも、エピルビシン溶液投与と比較し、大幅な腫瘍増殖抑制効果が明らかとなったとのことである。さらに、ミセル化によりエピルビシンの心臓への蓄積が大幅に抑制されていることから、副作用を軽減することへの期待も高まっている模様である。

2011 年 9 月、同社は興和株式会社との間でライセンス及び共同開発に関する契約を締結し、エピルビシンミセル（NC-6300）は新たに主要パイプラインに加わった。

同社と興和社の契約内容は以下のようになる。
- 同社は興和社に対し、エピルビシンミセル（NC-6300）最終製剤の全世界における販売権及び製造権を許諾する
- 販売権及び製造権の許諾として、同社は最大で総額24億円のマイルストーンを受領することになる（フェーズ毎に受領する）
- 同社はエピルビシンミセル原薬を興和社に継続的に供給する
- 上市後、同社は販売額に一定料率を乗じた継続的実施料を受け取る予定

2013 年 5 月、同社は NC-6300（K-912）エピルビシンミセルの国内 IND 申請を行った。対象疾患は進行性や転移性の固形がんであり、2013 年 9 月から投与が開始されている。試験期間は投与開始より約 1 年半を予定している。2024 年度（2025 年 3 月期）の上市を目標としている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

新規開発パイプラインおよび応用展開

新規開発パイプラインについては、siRNA、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステム ADCM（Antibody Drug-Conjugated-Micelle）などの拡充、提携パートナーを含めたフィージビリティスタディを進めている。

また、研究開発の応用展開として、化粧品の共同開発、原材料供給を行っており、新たに育毛剤等の開発も推進している。

siRNA ミセル

siRNA（small interfering RNA、阻害的低分子 RNA）とは、細胞内の mRNA（メッセンジャーRNA、タンパク質を構成するアミノ酸配列情報を持つ RNA）を破壊することで配列特異的に遺伝子発現を抑制する特徴を備えている。つまり、細胞内で病気に関連する特定のタンパクの生合成を抑制することができるという特徴を有するため、siRNA をデザインすることで、様々な疾患に対して効果を発揮する医薬品の開発が可能となると期待されている。siRNA 医薬品の治療効果が期待される分野は、がん、AMD（加齢性黄斑変性症）、呼吸器多核体ウイルス、脈絡膜血管新生、糖尿性黄斑浮腫、喘息、高コレステロール血症状などがある。

siRNA は体内に投与されると直ちに分解されてしまうという大きな欠点を持っており、最近では大手製薬企業も開発を断念するなど、「siRNA 医薬品」開発に大きな壁となって立ちはだかってきた。そのため、血中に投与できる製剤とするためには、確実な細胞内デリバリー技術による安定化は必要不可欠とされる。同社はデリバリー技術を東京大学よりライセンスインし（注）、siRNA ミセルの開発を進めている。この核酸デリバリー技術に関する物質特許は 2010 年 9 月に日本で登録されている。

> 注： 同社は 2009 年 5 月 25 日に東京大学および株式会社東京大学 TLO とカチオン性のポリアミノ酸（プラスに荷電したアミノ酸の集合体）に関する独占ライセンス契約を締結した。同ライセンス契約によって同社は、従来のミセル化ナノ粒子によるデリバリー技術に加えて、新たな技術を導入することができた。新たな技術とは、カチオン性ポリアミノ酸によるデリバリー技術であり、siRNA と高分子イオン複合体（プラスに荷電した高分子とマイナスに荷電した高分子が結合した複合体）を形成して、細胞質内へ siRNA を特異的に放出できる技術である。

NanoFect™

2013 年 6 月、同社は、核酸デリバリー技術の開発を東京大学との共同研究および自社研究の双方で進め、血中での消失が早い siRNA をミセル化することにより、安定化することに成功したことを発表した。siRNA は細胞内に入って初めて効果を発揮するが、これまで難しいとされていた細胞質内への侵入にも成功し、静脈注射によるがん治療効果を動物実験にて確認

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

した。

効果が強く特徴の異なる 3 つのシステムの開発に成功しており、フィージビリティスタディを開始、2013 年 6 月以降、商標を NanoFect^{TM} に統一して、企業へのライセンス活動を推進するとともに、自社開発パイプラインとしての可能性を追求する方針である。

3 つのシステムの特徴は以下の通りで、それぞれのシステムは粒子の大きさや特徴・性質が異なっており、適応がん腫や使用方法、がんが増殖している組織の違いなど様々な変化に対応できることを目指している。

・システム A： 3 つのシステムの中で一番大きな微粒子サイズ（直径約 120～140nm）を持ち、細胞内に取り込まれ易く、細胞質内に効率良く移行できるシステム。

・システム B：粒子は中程度のサイズ（直径約 30～50nm）で、生体内に投与した後の血中では siRNA を放出せず、安定で細胞内に取り込まれた後に細胞内に多く存在する ATP（注）によって放出されるシステム。

> 注：ATP は Adenosine Triphosphate（アデノシン 3 リン酸）のことで、生体内、特に細胞内ミトコンドリアで産生されるエネルギー源であるが、様々な物質の代謝、カルシウムや鉄の細胞内濃度の調節、細胞周期やアポトーシスの調節などにも大きく関わっている。

・システム C： 一番小さな微粒子（直径約 10～20nm）で、血中滞留性に優れており、標的細胞までの経路が細いなどの課題に対応できるシステム。

京都大学との共同研究

2011 年 8 月には、京都大学と共同研究契約を締結。新規機能 RNAi をミセル化ナノ粒子内に内包する新たな試みに着手した。

レギュラス社との共同研究

2013 年 5 月には、米レギュラス社（Regulus Therapeutics, Inc.（注）、以下、レギュラス社）との microRNA（マイクロ RNA）治療薬に関するフィージビリティスタディを開始した。本フィージビリティスタディでは、レギュラス社が選択したマイクロ RNA 分子を同社に提供し、同社は、核酸医薬デリバリーに適したミセル化ナノ粒子技術を用いて microRNA 分子の製剤化を行い、両社共同で前臨床試験を行う。

> 注：レギュラス社は、microRNA を標的とする革新的な医薬品の探索と開発をリードするバイオ医薬品企業である。レギュラス社の治療薬開発のプラットフォームは、20 年以上に亘って開発を続けてきた技術に基づいている。レギュラス社は、学術関係者の幅広いネットワークと連携し、Alnylam Pharmaceuticals や Isis Pharmaceuticals が培ってきたオリゴヌクレオチド創薬開発の専門知識を有

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

効活用し、がん、線維症、C 型肝炎や代謝性疾患など、いくつかの分野で microRNA 治療薬の臨床開発を進める予定。レギュラス社は、これらの分野で大手製薬企業などとの戦略的提携を進めている。

同社によれば、microRNA の発見は、siRNA の発見と同様に革新的な科学的ブレークスルーの 1 つとされている。マイクロ RNA は長さ 20～25 ヌクレオチドからなる小さな 1 本鎖 RNA 分子である。2 本鎖の siRNA より安定しているが、作用は類似しており、タンパク質をコードするのではなく、細胞内 mRNA（メッセンジャーRNA）と結合し、直接遺伝子発現を制御する。これまでに、ヒトゲノム中に 500 以上のマイクロ RNA が同定されており、ヒト遺伝子の 3 分の 1 以上がマイクロ RNA によって制御されていると考えられている。これまでの研究により、がん、線維症および代謝性疾患を含む多くの疾患で、microRNA の発現または機能が大きく改編され、制御不全になっていることが明らかにされている。レギュラス社は、前臨床試験において、組換マイクロ RNA が効果的に疾患経路を制御し、有益な治療効果を得られることを示している。

センサー結合型ミセル（ADCM）

同社は、標的細胞を狙ったターゲティング療法を目的とし、高分子ナノミセルにバイオセンサーを結合させる可能性についての評価試験を行っている。

センサー結合型ミセル（ADCM :Antibody/Drug-Conjugated Micelle）は、ミセル化ナノ技術と抗体を結合させるシステムである。薬物を内包したミセル粒子の表面に、がん細胞などの抗原に対するセンサーとして機能する抗体を結合して、がん細胞などのタンパクや抗原を認識させ、薬物を標的細胞に届ける。また、ADCM と siRNA の組み合わせた医薬品の開発も考えられるという。

例として、がん細胞などに現れる特異的な抗原を認識する抗体をミセル化ナノ粒子表面に結合して、がん組織への選択性を高めることが挙げられる。同社によれば、抗体と薬物が結合したミサイル療法より多くの薬物を標的細胞に届けることができるため、従来の製薬と比較し 10 倍以上の治療効果が期待できるほか、がん組織への選択性を高めることにより、従来の製剤に比べて副作用の軽減、既存治療での耐性がんに対する効果も期待できるとしている。

同社が開発を進めている ADCM では、センサーは抗体のみならず、タンパク質やペプチドが結合でき、薬剤は低分子化合物から、核酸のような高分子化合物までデリバリーすることが可能である。1 粒子のセンサー量は数個で抗原に対して充分なターゲティングが可能であり、1 ミセル内には数百個の薬物を内包することが出来るとしている。2014 年 5 月現在、日本、米国、欧州、カナダ、オーストラリア、中国で ADCM に関する物質特許が成立している。

2014 年 5 月現在、同社によれば ADCM はフィージビリティスタディの段階にある。今後は、適用症例、薬物及び抗体の開発候補、開発パートナーの選定を進め、2～3 年後を目途に臨床

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

試験を開始する意向である。

応用展開（化粧品）

同社のミセル化ナノ粒子技術が応用できる分野として、スキンケアも挙げられる。2011 年 10 月 1 日に「エクラフチュール-W」美容液を 2010 年 10 月 1 日に発売した。同社は、医薬品製剤の研究開発中に、ミセル化ナノ粒子が、皮膚の角層深部に留まる性質を発見、化粧品に適する性質として、化粧品への応用開発を進めてきたと説明している。

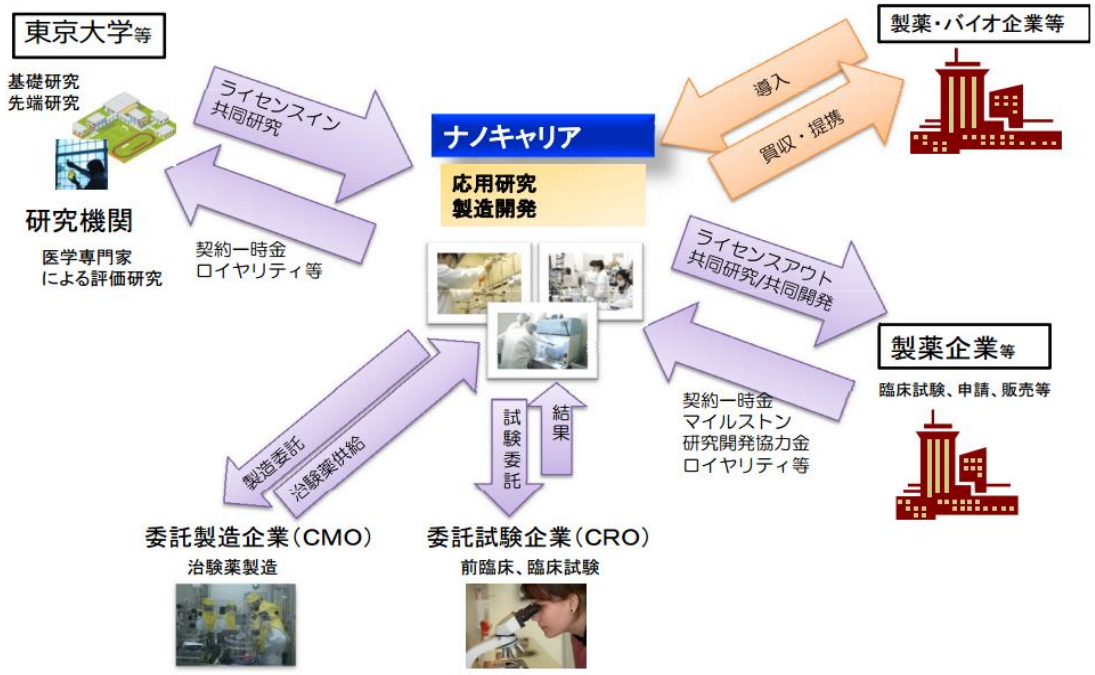
2012 年 7 月、同社は株式会社アルビオン（以下、アルビオン社）と、新たな化粧品素材の共同開発及びこれによって開発された素材を使用した化粧品の商業化について正式な合意に達した。同社はアルビオン社に対し、化粧品素材として使用される原料の供給を継続的に行い、アルビオン社は本素材を用いた新しい化粧品として、製品名は「エクラフチュール®」を 2013 年 10 月より発売開始した。同社が医薬品開発で実績を積む「高分子ミセルのナノ粒子」に、アルビオン社が独自に厳選した美容成分を内包。肌深部の効かせたい部分に届かせ、長時間美容成分を送り続ける効果があると同社は述べている。「エクラフチュール®」の 2013 年 10 月から 2014 年 3 月末における出荷実績は 37 万本であった。その結果、2014 年 3 月期における同社の原料供給は 130 百万円となった。

また、2013 年 9 月にアルビオン社と育毛剤、乳液などの新たな化粧品分野での共同開発および事業化について契約を締結した。化粧品や育毛剤などの製品群拡大により、売上の拡大と収益性向上を目指すとしている。

ビジネスモデル

同社は、大学や研究機関と知的財産権のライセンスインや共同研究を行い、その成果を基に新しい薬物の自社開発、あるいは提携企業にライセンスアウトを行う、あるいは提携企業と共同研究開発を行っている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved



出所：同社資料

同社は、ミセル化ナノ粒子技術を用いて新しい薬物を開発している。原則として、1）自社開発、2）共同研究開発、3）ライセンスアウト、の 3 つの形態で事業を推進している。それぞれの内容は以下の通りである。

1）自社開発
自社開発の場合、開発医薬品の上市もしくは臨床開発後期段階まで自社開発を行い、自社販売を行った場合、当該製品の販売による収入が計上されることとなる。ただし、多額の費用と人員を要することから、同社は非臨床試験及び臨床試験を行い、臨床試験で有用性を証明できた段階で、3）ライセンスアウトに移行していく選択をしている。

2014 年 5 月時点で、ナノプラチン® （NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）が自社開発の例に該当する。

2）共同研究開発
同社のミセル化ナノ粒子製剤技術に興味を示した提携先とミセル製剤化に関する共同研究契約を締結する場合などがある。基本的には同社が製剤を開発し、提携先がその評価をして、良好な評価が得られた場合は 3）ライセンス契約などに移行すると考えられる。

3）ライセンスアウト
1）自社開発、2）共同研究開発態においては、研究開発の経過段階で、ライセンスアウトを行う。ライセンス契約の形態により違いはあるが、一般的には、同社は提携時に支払われる

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

契約一時金（アップフロント）収入や開発進捗状況に応じて支払われるマイルストーン収入を得るほか、研究開発用の製剤を供給する場合には、それに対応する収入を得ることになる。また、製品上市後は、同社が最終製品の売上に基づくロイヤリティ収入を得ることが可能となっている。

日本化薬社へライセンスアウトした NK105（パクリタキセルミセル）がこのビジネスモデルに該当している。

同社にとっての主な収入源は以下の通り：

- 研究開発協力金および補助金：パートナー企業および政府機関との契約に基づく収入
- 契約一時金（アップフロント）：各ライセンス契約の開始にあたり、その締結時に受け取る収入
- マイルストーン：開発の各段階で受け取る収入
- ライセンス料：製品上市後に支払われる、固定額あるいは正味販売高に応じて料率の変わるロイヤリティ収入

ライセンサー（例えばナノキャリアのようなバイオテック企業）が受け取る標準的ロイヤリティのパーセンテージの概算は、契約によってさまざまである。よく参照されるケース（Medius Associates 2001）によれば、非臨床段階で約 0～5%、第 I 相臨床試験段階で 5～10%、第 II 相では 8～15%、第 III 相では 10～20%、認可薬に対しては 20%以上であるとしている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

SW（Strengths, Weaknesses）分析

強み

- **ミセル化ナノ粒子技術**：様々なブロックコポリマーを改変してミセル化ナノ粒子を製造し、有機・無機物質をミセル粒子に封入する技術経験こそが強みであると、同社経営陣は述べている。
- **特許**：上記技術は30件以上の特許出願によって保護されている。
- **さらなる基礎技術の入手機会**：同社はサイエンティフィック・アドバイザーを務める東京大学片岡教授およびそのチームとのリレーションを有する。同教授は同社創設者の一人であり、今後も継続的な協力が得られると思われる。

弱み

- **上市に至った薬剤がない**：同社には2014年5月時点で、同社のパイプラインで上市に至っているものはなく、同社は継続的な収益源が限られているといえよう。
- **市場での認知度**：同社は新薬開発型企業としての地位を確立しようと努めているが、これまでのところは主に初期技術をライセンスアウトしていることで、新薬開発ではなくDDSの開発のみのメーカーと見なされかねない。これは市場からは成長の可能性の芽を摘んでいると評価されかねない。経営陣は、自社が正真正銘の新薬開発企業である点を強調している。

主要設備

同社は本社所在地である千葉県柏市に研究開発施設を持ち、東京オフィスに管理部門を置く。

主要拠点

同社の拠点は日本国内のみである。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

市場とバリューチェーン

マーケット概略

製薬市場において抗がん剤は全世界的にみて最上位の市場規模を誇る領域である。

抗がん剤の世界市場規模

日米欧での抗がん剤市場規模（2011年度）
4兆3,794億円
内訳：日本 16.3%（ 7,133億円）
米国 46.6%（2兆 393億円）
欧州 37.1%（1兆6,268億円）

世界の抗がん剤のトップ15ブランド （2011年度）

順位	ブランド	種類	企業	売上（億円）
1	Rituxan/MabThera	分子標的薬	Roche/全薬工業	5445
2	Avastin	分子標的薬	Roche	4763
3	Herceptin	分子標的薬	Roche	4728
4	Glivec/Gleevec	分子標的薬	Novartis	3727
5	Revlimid	その他抗がん剤	Celgene	2567
6	Alimta	代謝拮抗剤	Eli Lilly	1969
7	Velcade	分子標的薬	武田薬品/J&J	1600
8	Erbitux	分子標的薬	BMS/Merck Serono	1502
9	Eloxatin	白金製剤	Sanofi/ヤクルト本社	1482
10	リュープリン/Lupron/Enantone	ホルモン製剤	武田薬品/AbbVie	1478
11	Xeloda	代謝拮抗剤	Roche	1219
12	Tarceva	分子標的薬	Roche	1126
13	Taxotere	アルカロイド系	Sanofi	1023
14	Sutent	分子標的薬	Pfizer	950
15	Zoladex	ホルモン製剤	AstraZeneca	943

出典:2013年世界の抗癌剤市場

出所：同社資料

タキソールの世界売上は 2000 年に 16 億米ドルでピークとなり、後に別のタキサン系抗がん剤であるタキソテール（ドセタキセル）に取って替えられた。タキソテールは サノフィ・アヴェンティス（Sanofi-Aventis） が販売している評価の高い抗がん剤で、売上成長が続いており、2008 年には 20 億ユーロに達したが、2010 年に特許切れとなった。タキソールは 2003 年に特許切れとなった。

主要な白金系抗がん剤であるオキザリプラチンについては、主要パイプラインの項目を参照されたい。

DDS は、生化学およびナノテクノロジーの進歩によって 1990 年代後半に生まれた新研究領域である。同社はがん領域を中心に、DDS（薬物送達システム）医薬品の研究開発を進めている。DDS は、腫瘍や他の疾患細胞に対する薬物放出制御を可能にするだけでなく、受動・能動的なターゲティングも可能にする。DDS 技術によって薬効の増大、副作用の軽減、使い勝手の改良（投薬回数減、薬剤費の削減、患者の QOL 向上）など、従来の医薬品の改善が見込まれる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

本レポートで触れている同社開発のミセル化ナノ粒子以外にも、DDS 技術には、高分子マイクロスフェア、ハイドロゲル、生分解性ポリマー、デンドリマー、電気活性ポリマー、および改質 C-60 フラーレン（「バッキーボール」）など様々なものがある。

現在上市されている DDS 医薬品および分子標的薬を以下にいくつか紹介する:
ドキシル（卵巣がん、エイズ関連カポジ肉腫; Johnson & Johnson）。ドキシルは主に、白金系抗がん剤が有効でない場合に卵巣がんの治療に使用される （「競合環境」も参照のこと）。

アブラキサン（転移性乳がん）。Abraxis BioScience（Nasdaq: ABII）は、世界初のパクリタキセル DDS 製剤としてアブラキサンを 2005 年に発売した。キャリアとしてアルブミンを使用する。アブラキサンは AstraZeneca と共同販売されており、2009 年の売上高は 3 億 1,500 万米ドルに達した（2008 年は 3 億 3,600 万米ドル）。アブラキサンの延命効果について、NK105 の妥当な比較対象であるか否かについては議論の余地があると SR 社では考える。いずれも DDS 薬物であるが完全に異なる送達システムを使用しており、おそらく異なる薬効と毒性プロフィールを持つと思われる。

イレッサ（一般名ゲフィニチブ）とは、AstraZeneca および Teva が販売する抗がん剤である。イレッサは EGFR（上皮成長因子受容体; 変異するとがんを引き起こす場合があるタンパク質）を阻害する作用がある。タルセバ（エルロニチブ、中外／Roche）は別の類似抗がん剤である。

ハーセプチン（トラスツズマブ）とは、Genentech 社（Roche 社が買収）が開発した抗体薬であり、乳がんの直接トリガー機構の一つとして同定された HER2/neu と呼ばれる受容体と結合することにより作用する。

アバスチン（ベバシズマブ）とは、Genentech/Roche 社が開発した別のモノクローナル（一つの細胞のクローニングによって生成された）抗体薬であり、腫瘍中の血管の形成を阻害することで作用する（血管新生と呼ばれ、新生を止める薬は血管新生阻害剤である）。

これらの抗がん剤について指摘される問題点は、腫瘍の成長を遅くする作用はあってもがん細胞を死滅させる効果が低いことである。同時に、これらは他の薬剤と併用投与することによってより効果的に作用するとされており、その例としてよくオキザリプラチンが挙げられる。

同社は新規株式公開目論見書上で、同社のナノミセル技術によって開発される新薬は、いわゆる分子標的薬である上述の抗がん剤と併用してがん治療に使用することができるとしている。また、ターゲティングの改善を図るために、ナノミセルにこれらの分子標的薬を封入するといった可能性もあり得るとしている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

サプライヤーおよび技術供給元

同社は自社技術を用いたナノミセルの生産に必要なポリマーおよび試薬を購入している。これらの特定の供給業者に対する依存度は高いと見られる（カッコ内は 2013 年 3 月期仕入高に占める割合）。

- 日油株式会社（東証1部4403）：63,579千円（30.7%）
- アルプス薬品工業株式会社：43,303千円（20.9%）
- 川原油化株式会社：37,436千円（18.0%）
- 家田ケミカル株式会社：23,250千円（11.2%）
- コーア商事株式会社：13,379千円（6.4%）

同社は、これまでと同様に今後も株式会社東京大学 TLO（東京大学が研究者の発見を事業化するために設立）から、実用化に向けた基礎技術の獲得を継続的に行っていくと見られる。過去には、そうした技術はまず独立行政法人科学技術振興機構（JST）に譲渡され、同社が JST から技術供給を受けることもあったが、その基礎技術の大半は東京大学片岡教授およびその研究チームにより開発されたものである。

参入障壁

認可に成功した医薬品への参入障壁は特許保護により非常に高い。その反面、研究開発段階で障壁の高さを判断することは困難である。実際、東京大学片岡教授らの国際レベルと見られる基礎研究を利用する権利を有することは一種の障壁といえるものの、多数の競合技術および優位性の主張が存在する。技術が上市段階に近づくに従い、その勝者は明らかになるであろう。

同社が研究開発に取り組む特定の技術が、製品化され成功を収めることができれば、同社の特定領域における研究の優位性は極めて高いため、参入障壁は非常に高くなるはずである。

競合環境

新規薬剤化合物の中から関連のある潜在的な競合品を特定することは難しい。同社は、実質的に全く新しい技術を開発している。日本および世界で類似の化合物あるいは類似の原理に基づく技術を用いて新薬を開発している企業は数社ある。

同社は、新規株式公開目論見書やその他参考資料で、抗がん剤、特にパクリタキセルおよび

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

シスプラチンに適用するリポソーム担体が潜在的な競合品であると触れている。リポソームとは、膜によって保護され、内部に物質を集積しターゲットとする細胞まで送達するために使用される超微粒子である。ドキシル（PEG 化リポソームカプセル封入ドキソルビシン）はこうした薬物の例である（ドキソルビシンは有効であるが、心臓毒性の強い抗がん薬である）。リポソーム担体は、概念上はナノミセルと非常に類似しているが、薬物を集積、送達および放出する方法が異なる。同社によれば、このような違いは、リポソーム担体の薬物保持力、放出の制御および薬物選択の低下に結びつく。

同社に似たアプローチで、放出制御、抗がん剤・その他の薬物のターゲティングと毒性軽減の問題解決に向けた製品の開発を行っているバイオテック企業や、がんのターゲティング治療法に取り組んでいるベンチャー企業も数社ある。

Novosom は、ドイツのバイオ企業であり、「電荷を有した逆相リポソーム」と呼ぶ技術を核酸治療剤の送達に用いている。これは、周囲の pH 要因によってその電荷をマイナスからプラスに変化させるリポソームである。CD40 拮抗剤と呼ばれる薬剤が非臨床段階にある。

Calando Pharma は、薬物送達技術を開発する米国のバイオテック企業である。IT-101 は、Calando のシクロサート（Cyclocert）（TM）技術を用いて可溶化したカンプトテシン（抗がん剤の一種）であり、現在非臨床段階にある。Calando の強みは、シクロデキストリンおよび PEG を含むポリマーナノ粒子の製造に関するノウハウであると見られ、Calando はこのノウハウの siRNA 薬への応用に取り組んでいる。

Access Pharmaceuticals Inc. は米国拠点の企業で、活性代謝物がナノキャリアの NC-4016 と同様に DACH プラチンであるプロリンダク（Prolindac、2010 年の初めに米国で第 II 相）を開発した。プロリンダクの場合、活性剤が HPMA（ヒドロキシプロピルメタアクリルアミド）共重合体の幹と結合している。

Supratek Pharma は、カナダのモントリオールに拠点を置く企業である。「プルロニックブロック共重合体」と呼ばれる技術を開発し、ドキソルビシン系の DDS 薬剤である SP1049C を開発した。2005 年から第 II 相臨床試験が英国で進行中とみられる。

代替品

同様の薬効をもつ既存薬、新薬が代替となる。医薬品発売後一定の年数が経過し特許期限切れになると、ジェネリックが強力な代替品となる。市販ジェネリックと比べ薬効に大きな優位性がない限り新薬に要求される薬効のハードルは高くなり、相対的にコストが高い新薬がジェネリックより高い売上水準を達成できるとは考えにくい。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

別の抗がん技術が成功を収めれば代替となり得るが、そのような技術は既存薬の代替ではなく、既存薬と併用される可能性が高いだろう。そのような技術の例として、がん細胞内に蓄積できるナノ粒子の開発に取り組むフランス企業、NanoBiotix がある。これらの粒子は不活性で、薬物ではなく、それ自体は特定の作用を持たない。しかし、これらを X 線にあてることで遊離ラジカルおよび熱が放出され、がん細胞の活動を停止させる可能性を持つ。
NanoBiotix 製品は実験的非臨床段階にある。

経営戦略

同社は、高製造コストや資金的な制限といった制約があるため、特定領域に焦点を絞った戦略をとっている。自社の技術経験、特定分野の研究やライセンスの専門知識を生かし、比較的高い投資回収が見込まれる開発品目の実用化に的を絞っている。

同社は、効能はありながらも有効なキャリアおよびターゲティングシステムを欠くため制約を受けている既存の治療用化合物の研究を今後もさらに推進していくと見られる。具体的な新規の戦略的研究領域は以下の通り：

- タンパク質および酵素などを使った単剤での分子標的（「マーケット概略」の項も併せて参照）。
- 薬物の併用（カクテル）。抗がん剤は多くの場合、互いに組み合わせることでより優れた作用を発揮する。ただし、既存の多くの抗がん剤が引き起こす深刻な副作用のため、抗がん薬のカクテル治療を実用化することは非常に困難であることが分かっている。
- 非がん用途。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

過去の財務諸表

前期以前の業績概況（参考）

2014 年 3 月期第 3 四半期決算実績

2014 年 2 月 12 日、同社は 2014 年 3 月期第 3 四半期決算を発表した。

2014 年 3 月期第 3 四半期累計期間の売上高は、Orient Europharma Co., Ltd.（台湾）及び興和株式会社からのライセンスならびに共同開発契約に基づくマイルストーン・治験薬供給収入、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給及び契約収入等により 444 百万円（前年同期比 121.1%増）となった。

一方、研究開発費等の増加により営業損失は 785 百万円（前年同期は営業損失 361 百万円）となった。経常損失は 633 百万円（前年同期は経常損失 355 百万円）、四半期純損失は 633 百万円（前年同期は四半期純損失 356 百万円）であった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
アジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）によって、2012 年 7 月に転移・再発乳がんを適用対象にした第 III 相臨床試験（国際共同試験）が開始された。試験期間は 2 年半を予定しており、日本化薬社は 2014 年 3 月期第 3 四半期業績説明資料（2014 年 1 月 31 日開示）において、NK105 を 2015 年度申請予定としている。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港およびシンガポールで転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験の治験届を行い、台湾においては 2014 年 1 月に患者登録を開始し、香港、シンガポールでも、治験届の承認を経て患者登録を開始する予定である。また、OEP 社との間で中国本土及び韓国を第Ⅲ相臨床試験に追加することを決定し、治験届を行うための準備を行っている。

日本・米国においては、自社開発による臨床試験を進めており、日本においては固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が 2012 年 10 月から進捗中であり、米国については、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（ＰⅠb/Ⅱ）の治験届が承認され、米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターを含め複数の施設で患者登録に向けての準備が進められている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験を開始しており、2013 年 12 月より米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターにおいて患者への投与が開始されている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進めており、興和社が 2013 年 5 月に国内における第Ⅰ相臨床試験実施のための治験届を行い、同年 9 月から患者への投与が開始され、順調に進捗している。

新規開発パイプライン
抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させ、より選択性を高めたターゲティングを行うシステム ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）の開発を進め、新規低分子医薬品に加え、新規 siRNA などの核酸やタンパク質など高分子医薬品を対象にした次世代医薬品候補の開発を行うために自社研究及び内外の製薬・バイオ企業や研究機関等との共同研究を進めている。

その他
アルビオン社との間でミセル化ナノ粒子と新たな化粧品素材を使用した化粧品「エクラフチュール®」の販売が好調であった模様。

また、2012 年 7 月に締結したアルビオン社との共同開発契約に基づき、新たな化粧品（美容液）材料の開発を進め、2013 年 10 月から販売が開始された。また、2013 年 9 月に新たにアルビオン社と締結した共同開発契約に基づき、化粧品新分野での事業化に向け共同開発を進めている。

尚、2014 年 3 月期通期業績予想について、売上高のみ前回予想の 416 百万円から 466 百万円に修正した。修正の理由としては、アルビオン社への化粧品材料の供給が好調であるためとしている。会社予想売上高が上方修正された一方、営業利益、経常利益、当期純利益の予想は据え置かれた。

2014 年 3 月期第 2 四半期決算実績

2013 年 11 月 11 日、同社は 2014 年 3 月期第 2 四半期決算を発表した。通期会社予想の修正はない。

2014 年 3 月期第 2 四半期累計期間の売上高は、Orient Europharma Co., Ltd.（OEP 社）及び興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入、株式会社アルビオンへの化粧品材料の供給及び契約収入により 326 百万円（前年同期比 228.0%増）、研究開発費等により営業損失は 501 百万円（前年同期は営業損失 267 百万円）となった。外国為替相場の変動による為替差益 71 百万円を計上したため、経常損失は 436 百万円（前年

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

同期は経常損失 267 百万円)、四半期純損失は 437 百万円（前年同期は四半期純損失 268 百万円）であった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通り。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が、2012 年 7 月に開始した転移・再発乳がんを適用対象にした第 III 相臨床試験は順調な進捗。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
一部アジア領域（日本、インド、中国以外のアジア）を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している OEP 社とともに、2013 年 6 月に転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験のプロトコルを台湾当局に提出し、台湾、香港、シンガポールで臨床試験を開始する予定。また OEP 社と中国本土を臨床試験地域に追加することも合意した。日本国内においては、自社開発を進めている固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が進捗中。米国では 2013 年 6 月に肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（ＰⅠb/Ⅱ）の治験計画届書を提出した。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
2013 年 5 月に、固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験の治験計画届書を提出して自社開発を進め、米国テキサス大学 MD Anderson にて近々臨床試験に着手する予定。

エピルビシンミセル（NC-6300）
治験薬の製造等を推進し、ライセンス先である興和社が 2013 年 5 月に第Ⅰ相臨床試験実施のための治験届を行い、 9 月から投与が開始されている。

新規開発パイプライン
抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させ、より選択性を高めたターゲティングを行うシステム ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle ）や、新規低分子医薬品に加え、新規 siRNA などの核酸やタンパク質など高分子医薬品を対象にした次世代医薬品候補の研究開発を進めている。

2014 年 3 月期第 1 四半期決算実績

2013 年 8 月 9 日、同社は 2014 年 3 月期第 1 四半期決算を発表した。なお、会社予想に変更はない。

売上高は、興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入や

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

株式会社アルビオンとの共同開発契約に基づく化粧品材料の供給等により 150 百万円（2013 年 3 月期第 1 四半期売上高 10 百万円）となった。一方、研究開発費等により、営業損失は 277 百万円（同営業損失 179 百万円）となった。経常損失は 190 百万円（同経常損失 179 百万円）、当期純損失は 191 百万円（同当期純損失 180 百万円）であった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

主要パイプラインの現況

パクリタキセルミセル（NK105）

アジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を平成 24 年 7 月から開始し、順調に進捗している。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）

グローバル開発を推進しており、アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co.,Ltd.（OEP）とともに、2013 年 6 月に転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験のプロトコルを台湾当局に提出しており、臨床試験に入る。また、日本国内においては自社開発を進めている固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が進捗中であり、さらに、米国において 2013 年 6 月に肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（ＰⅠb/Ⅱ）の治験計画届書を提出しており、3 地域で 3 種の臨床試験を同時並行で進めていく計画である。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

2013 年 5 月に、固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験の治験計画届書を提出し、米国テキサス大学 MD Anderson において、臨床試験に着手する予定である。

エピルビシンミセル（NC-6300）

全世界を対象にしたライセンス及び共同開発契約を締結している興和株式会社とともに非臨床試験、治験薬の製造等を推進した結果、2013 年 5 月に第Ⅰ相臨床試験実施のための治験届を行い、投与開始に向け準備を進めている。

2013 年 3 月期通期決算実績

2013 年 5 月 13 日、同社は 2013 年 3 月期通期決算を発表した。

売上高は、興和株式会社への製剤供給に伴う収入やマイルストーン収入、Orient Europharma Co., Ltd.（台湾）からの契約一時金収入等により 373 百万円（前年比 7.9%増）となった。一方、研究開発費等により、営業損失は 526 百万円（2012 年 3 月期は営業損失 333 百万円）となった。経常損失は 432 百万円（同経常損失 366 百万円）、当期純損失は 484 百万円（同当期純損失 398 百万円）であった。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

売上高は下記 Orient Europharma Co., Ltd.との間で締結した新契約にによって、当初予想の 242 百万円を上回った。また、シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）の日本国内における第 I 相臨床試験、米国における拡大臨床試験の開始が当初計画より遅れたこともあり、研究開発費は当初計画の 1,035 百万円を下回り、237 百万円に留まった。同社は臨床試験の遅延について、一部戦略的意思決定（実施地域の変更、適応症の変更等）に基づくものも含まれるとしている。

同社は、2012 年 11 月に Orient Europharma Co., Ltd.との間で、シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）に関するアジア地域（日本、インド、中国以外のアジア、オセアニアを含む）を対象とする開発及び販売権に加え、全世界を対象とする非独占製造権を付与する新たなライセンス契約を締結した。また、同月、信越化学社を割当先とする新株式発行（12,000 株）を含む資金調達を行うとともに、ミセル化ナノ粒子技術の中核である原材料ポリマーの研究開発について、信越化学社と協力的な関係構築に向けて検討を開始した。

なお、信越化学社は、株式会社ウィズ・パートナーズが無限責任組合員として組成する投資事業有限責任組合より、同社株式 12,000 株の譲渡を受けた。そのため、第三者割当で取得した株式数と合わせた同社株式保有数は 24,000 株となり、2013 年 3 月末時点で同社の筆頭株主となった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
アジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）によって、2012 年 7 月に転移・再発乳がんを適用対象にした第 III 相臨床試験（国際共同試験）が開始され、進捗している。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
アジア地域（日本、インド、中国以外のアジア、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、進行性膵臓がんを対象とした第 II 相臨床試験を台湾およびシンガポールで実施中である。2013 年前半には承認要件を満たす拡大臨床試験に移行する予定であるという。日本国内においても固形がんを対象に 2012 年 10 月に第 I 相臨床試験を開始した。また、グローバル展開を計画しており、米国においても 2013 年中に肺ガン（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験を開始するための準備を進めているとしている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
米国における第 I 相臨床試験実施の早期再開に向け、準備を進めているとのことだ（実施施

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

設はテキサス州立大学 MD アンダーソンがんセンター（The University of Texas MD Anderson Cancer Cente））。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と非臨床試験の実施及び治験薬の製造等を進めてきたが、2013 年 5 月初旬に第 I 相臨床試験実施のための IND 申請を医薬品医療機器総合機構（PMDA）におこなった。

新規パイプラインの進捗状況
低分子医薬品に加え、タンパク質、核酸など高分子医薬品などを対象に、エーザイ株式会社（東証 1 部 4523）、東京大学をはじめ、国内外の研究機関や製薬企業と共同研究やフィージビリティスタディを実施し、ドセタキセルや分子標的薬ベルケイド®（ボルテゾミブ）のミセル化医薬品開発やセンサー結合型ミセルについて自社研究を進めているとしている。

2012 年 3 月期通期決算実績

2012 年 5 月 10 日、同社は 2012 年 3 月期通期決算を発表した。

売上高は、興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約締結に伴う契約一時金収入等により 346 百万円（前年比 310.7%増）となった。一方、研究開発費等により、営業損失は 334 百万円（2011 年 3 月期は営業損失 520 百万円）となった。経常損失は 366 百万円（2011 年 3 月期は経常損失 550 百万円）、当期純損失は 398 百万円（2011 年 3 月期は当期純損失 555 百万円）であった。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
アジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が、国内で乳がん等を対象に臨床試験を進めている。日本化薬社は早ければ 2012 年中にも第 III 相臨床試験を開始するよう尽力中とのことだ。

ナノプラチン®（NC-6004）
一部アジア領域（日本、インド、中国以外のアジア）を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している Orient Europharma Co. Ltd.とともに、膵臓がんを対象とした第 I 相/第 II 相臨床試験を台湾およびシンガポールで実施中。2011 年 7 月に有効性及び安全性を検証するための第 II 相臨床試験パートに入った。患者登録を含め同試験は順調に進んでいる模様。また、日本国内における臨床試験についても、年内の申請・試験実施に向けて準備が進められているようだ。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
第 I 相臨床試験実施の準備および第 II 相臨床試験実施に向けて計画策定を行っているとのことだ。また、国内外での新たな提携先との交渉にも尽力中であるとしている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
2011 年 9 月に興和社との間でライセンス及び共同開発に関する契約を締結し、新たに主要パイプラインに加わった。興和社とは共同開発体制を構築し、前臨床試験を進めており、2013 年の第 I 相臨床試験開始に向け準備を進めている模様である。

新規開発パイプラインの現況
その他の新規開発パイプラインについては、自社での研究開発を進める一方、低分子化合物だけでなく、siRNA やタンパク質など高分子化合物にも適用対象を拡大し、京都大学との核酸医薬に関する共同研究を始め、東京大学や国立がん研究センター病院など国内外の研究機関や製薬企業と、低分子化合物だけでなく、siRNA、タンパク質など高分子化合物をも対象とする共同研究やフィージビリティスタディを実施しているとのことである。

その他契約
2011 年 9 月には興和社とエピルビシンミセル（NC-6300）についてライセンス及び共同開発に関する契約を締結した。

また、2012 年 3 月にはエーザイ株式会社（東証 1 部 4523）と共同研究契約を締結し、同社の基盤技術であるミセル化ナノ粒子技術を用いて、エーザイ社所有の薬物に適応させ、開発可能性を検証する取り組みを開始した。

資金調達とその目的
2012 年 3 月に株式会社ウィズ・パートナーズが運営するファンドから、1,700 百万円の転換社債型新株予約権社債及び行使された場合には最大で 2,025 百万円が払い込まれる新株予約権の発行により、大規模な資金調達を実施した。

同社は、バイオベンチャーであり、研究開発投資が売上に先行して必要となる。そのため、これまでもこの開発のための資金を補う目的で、小規模の増資、パイプラインの早期ライセンスなどを行ってきた。しかし、早期ライセンスは、開発資金を最小限に留めるというメリットがある反面、臨床開発の推進を提携先に依存することになるため、最短で製品の承認や上市を実現するという同社の目標と提携先の意向が必ずしも一致するとは限らない。また、（開発初期または早期の段階で製品を他社へライセンスすることは）契約の交渉上、正当な評価が得られず、同社が期待するようなマイルストーン収入・収益を実現できない可能性もある。

上記課題を解決するため、第三者割当増資を行い、二つのパイプライン（ナノプラチン®

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

（NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016））について自社開発を加速化する方針に転換したとのことである。同社は、ナノプラチン®（NC-6004）については、第 III 相臨床試験を経て上市後には大型新薬としての売上を期待しており、今回の増資における資金使途の大部分を振り向けるとしている。

ウィズ・パートナーズ社より、2012 年 3 月に社外取締役 2 人、4 月にアドバイザー1 名が就任した。同社は、ライフサイエンス分野での経験と幅広い人脈を有する社外取締役及びアドバイザーに製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

また、2011 年 9 月には興和社との共同開発契約の締結と同時に、興和社に対して第三者割当増資による新株発行を実施、290 百万円を調達した。

2011 年 3 月期通期決算業績

2011 年 5 月 12 日、同社は 2011 年 3 月期決算を発表した。

パイプラインの現況

パクリタキセルミセル（NK105）
同社によれば、ライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が臨床第 II 相試験を終了、臨床第 III 相試験を実施するための準備中であるとのことだ。2011 年 2 月 21 日付の日経産業新聞には、「（日本化薬社は）年内をめどに最終段階の第 III 相試験に着手しており、2015 年度中に実用化を目指すところまでこぎ着けた」と報道されている。
また、日本化薬社では本剤の価値を上げるべく、乳がんを対象とした第 I 相臨床試験を 2010 年より開始し、早ければ 2011 年内にも第 II 相臨床試験に移行する予定であるという。

ナノプラチン®（NC-6004）
ライセンス先かつ共同開発会社である Orient Europharma Co. Ltd.社とともに第 I/II 相臨床試験を台湾およびシンガポールで実施中。本試験で英国第 I 相試験結果から想定された最大耐用量（MTD）以上の高用量まで投与可能であることが確認されたため、現在はさらに高用量の NC-6004 を投与する段階にあるようだ。同社は安全性、効果の両面において当初の期待以上の内容で順調に推移しているとコメントしている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
ライセンス先の Debiopharm 社との契約は 2011 年 3 月をもって終了。同社はこれによって、前臨床および臨床試験の結果を自由に利用可能になったとコメントしている。また、新たな

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

提携パートナーの獲得に尽力しているとのことである。なお、同社が新たな提携先とライセンス契約を締結した場合、同社は受領したマイルストーン収入の一部を Debiopharm 社に支払うこととなっている（詳細は同社が 2011 年 5 月 12 日に公表した決算短信 17 頁参照）。

新規パイプラインのトピックス

タンパク質ミセル

同社は、LFB Biotechnologies 社（以下 LFB 社）と、rhFVIIa（recombinant human factor VIIa、遺伝子組み換え血液凝固第 VII 因子）ミセル化製剤（NC-4026）のライセンスのためのオプション契約に基づき、本製剤の有効性・安全性に関する確認を実施してきた。本来、2011 年 3 月期中にライセンス契約に入ることで双方合意し、交渉を続けてきたが、「東日本大震災」などの影響により、LFB 社の来日がキャンセルとなり、更なる安全性確認のためにオプション契約を 2011 年年 7 月 20 日まで延長したいとの申入れがあったとのことだ。従って、ライセンス契約締結による売上計上は 2011 年 3 月期ではなく、2012 年 3 月期となる見込みと同社はコメントしている。

その他トピックス

同社は 2011 年 3 月期中に実施した第三者割当増資、有償株主割当増資および新株予約権の行使請求に伴う新株発行により、1,391 百万円を調達した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

損益計算書

損益計算書 (百万円)	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期
売上高	**103**	**263**	**354**	**118**	**84**	**346**	**374**	**472**
前年比	-4.1%	154.0%	34.6%	-66.7%	-28.4%	310.7%	7.9%	26.3%
売上原価	92	68	247	71	51	125	273	182
売上総利益	**12**	**194**	**106**	**47**	**33**	**221**	**101**	**290**
売上総利益率	11.3%	74.0%	30.1%	39.8%	39.4%	63.9%	27.0%	61.4%
販売費及び一般管理費	729	647	638	540	553	555	628	1,413
売上高販管費比率	704.8%	246.2%	180.4%	458.0%	655.9%	160.2%	167.9%	299.2%
営業利益	**-717**	**-453**	**-532**	**-493**	**-520**	**-334**	**-527**	**-1123**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-
営業外収益	3	7	9	4	1	2	106	244
営業外費用	13	46	1	4	31	35	12	215
経常利益	**-727**	**-492**	**-524**	**-492**	**-550**	**-366**	**-432**	**-1095**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-
特別利益	0	0	2	0	0	0.0	0.5	-
特別損失	0	0	0	0	-550	31.0	50.4	16.2
税引前利益	**-728**	**-492**	**-522**	**-492**	**-553**	**396**	**-482**	**-1,111**
法人税等	2	2	2	2	2	2	2	2
当期利益	**-729**	**-494**	**-524**	**-495**	**-555**	**-398**	**-484**	**-1114**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2007 年 3 月期、売上高は Debiopharm 社から 27 百万円（売上高の 26%）、キリンファーマ株式会社から 29 百万円（同 28%）、エーザイ社から 27 百万円（同 26%）であった。

2008 年 3 月期、Debiopharm 社からの収入は 148 百万円（売上高の 56%）。また、日本化薬社から NK105 関連の 101 万円（同 38%）のマイルストーン収入があった。

2009 年 3 月期、Debiopharm 社からの収入は 229 百万円（売上高の 65%）。Orient Europharma 社からの収入は 119 百万円であった（同 33.6%）。

2010 年 3 月期、同社は、既存・新規提携先との契約交渉遅延を理由に 2010 年 3 月 26 日付で 2010 年 3 月期の会社予想を下方修正した。同社のプレスリリースによると、交渉は今後も継続するとのこと。

2010 年 3 月期の業績は、修正後の会社予想とほぼ合致する内容だった。

Debiopharm 社からの収入は 55 百万円（売上高の 47%）。 一丸ファルコス株式会社からの収入は 14 百万円（同 11%）。28 百万円は他の 2 社からの収入だった（社名は公表されていない）。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

貸借対照表

貸借対照表　（百万円）	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期
現金及び預金、有価証券	1,718	1,755	1,369	1,006	1,872	2,981	5,155	7,247
売掛金	4	0	43	6	6	1	5	27
たな卸資産	43	121	11	22	60	99	181	203
その他	142	79	26	31	43	31	132	112
流動資産	**1,906**	**1,955**	**1,450**	**1,066**	**1,981**	**3,112**	**5,473**	**7,589**
有形固定資産	24	32	29	24	19	38	19	39
無形固定資産	50	45	38	35	27	2	0	2
投資有価証券及びその他	11	12	12	11	11	510	114	6,710
固定資産	**85**	**89**	**80**	**70**	**57**	**550**	**133**	**6,752**
資産合計	**1,992**	**2,044**	**1,529**	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**
買掛金	7	4	9	11	2	5	50	40
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	226	133	63	110	188	99	99	163
流動負債	**233**	**136**	**71**	**121**	**189**	**104**	**149**	**203**
長期有利子負債	-	-	-	-	-	1,700	1,040	540
その他	-	-	-	-	-	104	16	1
固定負債	**-**	**-**	**-**	**-**	**-**	**1,804**	**1,056**	**541**
負債合計	**233**	**136**	**71**	**121**	**189**	**1,804**	**1,205**	**744**
株主資本	**1,759**	**1,908**	**1,458**	**1,012**	**1,848**	**1,829**	**4,353**	**13,563**
評価・換算差額等	0	0	-	3	1	30	48	34
純資産	**1,759**	**1,908**	**1,458**	**1,014**	**1,849**	**1,859**	**4,401**	**13,597**
負債純資産合計	**1,992**	**2,044**	**1,529**	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**
運転資金	40	118	46	17	65	95	136	190
有利子負債合計	-	-	-	-	-	1,700	1,040	540
ネット・デット	-1,718	-1,755	-1,369	-1,006	-1,872	-1,281	-4,115	-6,707

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

資産

2014 年 3 月期の資産のうち、51%を現金及び現金同等物（現金及び預金、有価証券）、47%を投資その他の資産合計が占める。なお、投資その他の資産のほとんどは長期性預金である。これらの資産の増加は、2011 年 3 月期以降の資金調達の活発化によるものである（「株主資本」の項参照）。

負債

2007 年 3 月期から 2011 年 3 月期の有利子負債はゼロであった。2012 年 3 月期には、転換社債型新株予約権付社債の発行によって 1,700 百万円の有利子負債が発生した。新株予約権の行使により当該有利子負債は 2014 年 3 月期に 540 百万円に減少した。

株主資本

同社は 2008 年 3 月期の新規株式公開（IPO）による調達などを含む多様なエクイティファイナンスを行っており、新株予約権も発行している。

2014 年 3 月期には、公募（国内一般募集及び海外募集）による新株式発行、オーバーアロットメントによる第三者割当により、総額 9,069 百万円の資金調達を行った。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2008 年以降の主な資金調達

年月	調達方法	発行済株式総数増減	株主資本増減額
2008 年 9 月	有償第三者割当（Cyntec Co., Ltd.）	4,116 株	75 百万円
2010 年 6 月	有償第三者割当（株式会社メディネット）	4,819 株	100 百万円
2010 年 12 月	有償株主割当	68,987 株	690 百万円
2011 年 1～3 月	新株予約権の行使	18,500 株	601 百万円
2011 年 4～6 月	新株予約権の行使	3,000 株	87 百万円
2011 年 10 月	有償第三者割当（興和株式会社）	11,000 株	290 百万円
2011 年 1～11 月	新株予約権の行使	14,170 株	429 百万円
2012 年 11 月	有償第三者割当（信越化学工業株式会社）	12,000 株	690 百万円
2012 年 11 月～2013 年 3 月	新株予約権の行使	64,252 株	1,891 百万円
2013 年 10 月	有償一般募集（グローバルオファリング）	33,600 株	8,651 百万円
2013 年 11 月	有償第三者割当（J.P. Morgan Securities plc）	1,625 株	418 百万円

出所：同社資料

潜在希薄化

同社は、ストック・オプション制度を採用しており、2014 年 3 月末でストック・オプションとして発行した新株予約権は 2,285 株相当である。

また、資金調達のために新株予約権を発行しており、第 2 回転換社債型新株予約権付社債に付された新株予約権 19,278 株は相当ある。

上記全ての新株予約権が全て行使された場合の潜在株式数は 21,563 株であり、2014 年 3 月末の発行済株式数 402,652 株に対して、合計 5.08%の希薄化率となる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

キャッシュフロー

キャッシュフロー計算書（百万円）	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期
営業活動によるCF (A)	-663	-588	-457	-452	-578	-293	-635	-1,098
投資活動によるCF (B)	-62	-19	-4	-8	-5	-1,721	-121	-7,059
FCF (A+B)	-725	-607	-461	-460	-582	-2,015	-757	-8,158
財務活動によるCF	1,143	643	75	97	1,449	1,924	2,327	9,581
減価償却費（A）	8	15	16	16	16	18	7	5
設備投資（B）	-11	-14	-3	-2	-4	-19	-20	-27
運転資本増減（C）	-6	78	-71	-29	48	30	41	54
単純FCF（純利益+A+B-C）	-727	-571	-440	-452	-590	-429	-538	-1,189

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

営業活動によるキャッシュフロー

営業活動によるキャッシュフローがマイナスになっているのは、同社の技術が初期段階にあること（2014 年 3 月期時点で、同社製品はまだ上市に至っておらず、研究開発費、人件費など販売管理費の大半は固定費である）を反映したものである。

投資活動によるキャッシュフロー

2006 年 3 月期から 2013 年 3 月期の投資活動によるキャッシュフローは僅少に留まっている。2012 年 3 月期および 2014 年 3 月期は定期預金の預入による支出によって、投資活動によるキャッシュフローがマイナスとなっている。

財務活動によるキャッシュフロー

2007 年 3 月期および 2008 年 3 月期は主に株式発行（それぞれ第 3 者割当増資と IPO）によるものであった。2011 年 3 月期は、第三者割当増資、株主割当増資および新株予約権行使請求に伴う新株式発行によって生じている。また、2012 年 3 月期は、第三者割当増資および新株予約権行使請求に伴う新株式発行、第三者割当による転換社債型新株予約権付社債及び新株予約権の発行等によって生じている。2013 年 3 月期も第三者割当増資及び新株予約権の行使請求に伴う新株式発行等により増加した。2014 年 3 月期は、公募（国内一般募集及び海外募集）による新株式発行、オーバーアロットメントによる第三者割当による総額 9,069 百万円の資金調達により、財務活動によるキャッシュフローがプラスとなった。

単純フリーキャッシュフロー

2007 年 3 月期から 2014 年 3 月期の同社の単純フリーキャッシュフローは、同社が成長初期段階にあることを反映したものである。純利益がプラスになるのはまだ先だが、これは、同社の製品が依然として投資・開発段階にあることが要因である。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

その他情報

沿革

同社設立のきっかけは、ミセル化ナノ粒子技術の学術研究に端を発する。東京大学の片岡教授（「トップ経営者」の項を参照）、東京女子医科大学の岡野教授（「トップ経営者」の項を参照）らが、ミセル化ナノ粒子技術の医学的な応用を目標に研究を重ねた（「用語集」を参照）結果、ミセル化ナノ粒子を静脈投与した場合、血中に薬物が長時間循環し、薬物の効果が持続するキャリア（担体）となり得ることを見出した。

バイオベンチャー企業経営の経験を持つ現代表取締役社長 CEO の中冨一郎氏が、教授らと共に、その研究成果を事業化するために起業したのが、ナノキャリアである。

本社・研究所（出所：会社資料）

年表
1996 年 6 月: ミセル化ナノ粒子を医薬品開発に応用・実用化することを目的として、ナノキャリア株式会社を設立

1997 年 8 月: 日本油脂株式会社（現:日油株式会社（東証 1 部 4403））と、新規ブロックコポリマーの共同開発契約を締結

2001 年 1 月: 株式会社先端科学技術インキュベーションセンター（現:株式会社東京大学 TLO）と「シスプラチン内包高分子ミセル」に関する実施許諾契約書を締結

2002 年 6 月: 日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）とパクリタキセルミセルに関する実施許諾基本契約を締結

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2002 年 11 月: 同社のミセル化ナノ粒子技術とキリンビール株式会社（現：協和発酵キリン株式会社）のヒト抗体技術を融合し、抗体結合型ミセルによる抗がん剤（NC-4010）開発のための共同研究契約書を締結

2004 年 5 月: 国内においてライセンスアウト先の日本化薬株式会社がパクリタキセルミセル（NK105）の第 I 相臨床試験を開始

2004 年 5 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「ダハプラチン含有ブロック共重合体抗腫瘍剤」に関する実施許諾契約書を締結

2005 年 3 月: Debiopharm S.A.（スイス）とミセル化ナノ粒子技術によるダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）に関する共同研究およびオプション契約を締結

2006 年 5 月: 英国においてシスプラチン誘導体ミセルであるナノプラチン®（NC-6004）の第 I 相臨床試験を開始

2006 年 6 月: キリンビール株式会社（現 協和発酵キリン株式会社）と抗体結合型ミセルによる新規抗がん剤（NC-4010）開発のための新規共同研究契約書を締結

2006 年 7 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤」に関する独占ライセンス契約を締結

2007 年 2 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「pH 応答性高分子ミセルの調製に用いる新規ブロック共重合体及びその製造法」に関する独占ライセンス契約を締結

2007 年 10 月: Debiopharm S.A.とダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）に関するライセンスおよび製剤供給に関する契約を締結

2007 年 11 月: 日本化薬株式会社がパクリタキセルミセル（NK105）の第 II 相臨床試験（胃がん対象）を開始

2008 年 3 月: 東京証券取引所マザーズ市場に上場

2008 年 4 月: 株式会社東京大学 TLO と核酸用ミセルに関する独占ライセンス契約を締結

2008 年 9 月: 台湾の Orient Europharma Co. Ltd.とナノプラチン®（NC-6004）のライセンスおよび共同開発契約を締結

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2008 年 12 月: ナノプラチン®（NC-6004）第 I/II 相臨床試験開始申請承認（台湾）

2008 年 12 月: Debiopharm S.A.が欧州においてダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の第 I 相臨床試験開始申請承認

2009 年 5 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO とカチオン性ポリアミノ酸に関する独占ライセンス契約を締結

2009 年 11 月: 同社はニュースリリースで、ドセタキセルミセルの開発成功（抗がん剤ドセタキセルを継続的に徐放するミセル）を発表

2009 年 12 月: 同社は遺伝子治療分野で、東京大学および株式会社東京大学 TLO とライセンス契約を締結したと発表

2010 年 8 月: 国内において、ライセンスアウト先の日本化薬株式会社がパクリタキセルミセル(NK105)の第 I 相臨床試験（乳がん対象）開始

2010 年 10 月: LFB Biotechnologies と、タンパク質 rhFVIIa（第 VII 因子）のミセル化製剤のライセンスを視野に入れたオプション契約を締結

2011 年 3 月: Debiopharm S.A.と LICENSE AND SUPPLY AGREEMENT の終結に伴う Termination Agreement を締結

2011 年 7 月: LFB 社と共同研究契約を締結

2011 年 7 月: ナノプラチン®（NC-6004）の第 II 相臨床試験を開始

2011 年 8 月: 京都大学と核酸医薬に関する共同研究契約を締結

2011 年 9 月: 興和株式会社とのエピルビシンミセル（NC-6300）のグローバルでのライセンス及び共同開発契約の締結、興和社に対する第三者割当による新株発行を実施

2012 年 3 月: 株式会社ウィズ・パートナーズが運営するファンドより自社開発加速化のための大規模資金調達を実施

2012 年 3 月: エーザイ株式会社（東証 1 部 4523）と共同研究契約を締結

2012 年 7 月: アルビオン社と化粧品素材の開発及び商業化に関する契約締結

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2012 年 10 月: 国内において NC-6004 の第 I 相臨床試験開始。信越化学工業株式会社と第 3 者割当増資に関する契約締結

2012 年 10 月: Orient Europharma Co., Ltd.と NC-6004 の製造権に関するライセンス契約締結

2013 年 5 月: 興和株式会社が NC-6300（K-912）の国内第 I 相臨床試験に関する治験計画届出書を提出

2013 年 5 月: ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の米国第 I 相試験に関する治験計画届出書を提出

2013 年 6 月: ナノプラチン®（NC-6004）の米国第 Ib/Ⅱ相試験（非小細胞肺がん）に関する治験計画届出書を提出

2013 年 6 月: Orient Europharma Co., Ltd.がナノプラチン®（NC-6004）のアジア第Ⅲ相試験（膵がん）に関する治験計画届出書を提出

2013 年 10 月: 共同開発品の新生アルビオン「エクラフチュール」発売

ニュース&トピックス

2014 年 3 月

2014 年 3 月 18 日、同社は Antibody/Drug-Conjugated Micelles に関する物質特許が、米国にて特許査定を受けたことについて発表した。

がん細胞や疾患部位を標的にしたセンサーを結合し、薬物を患部へ確実かつ大量に送達することを目的とした Antibody/Drug-Conjugated Micelles（ADCM）に関する物質特許は、既に日本、欧州、カナダ、オーストラリア、中国で成立している。同社によれば、同特許は米国においても特許査定を受け、米国地域における知的財産権を確保したことにより、グローバルな知的財産となったとのことである。

同日、同社との取材を踏まえ、2014 年 3 月期第 3 四半期決算内容を更新した。

（詳細は 201 4 年 3 月期第 3 四半期決算の項目を参照）

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2014 年 3 月 10 日、同社はパイプラインの開発進捗状況について発表した。

同社は、ミセル化ナノ粒子技術を用いたパイプラインの進捗状況について、定性的な情報を主体に毎四半期決算発表の際に開示しているが、開発パイプライン数が今後も拡大していく予定であることを踏まえ、開発パイプラインの進捗を、よりわかりやすい形式で開示することにしたとしている。

以下が自社開発、共同開発および導出先開発を含め同社が開発を進めているパイプラインの現状である。日本、欧米、アジア地域で合計「4 製品/ 6 本」の臨床試験が実施されており、そのうち医薬品開発の最終段階となる PhaseⅢ試験は 2 本含まれている。

品目	対象疾患	ステージ	地域		状況	開発形態/企業
NC-6004	膵がん	Phase Ⅲ	アジア	台湾	患者投与中	共同開発 Orient Europharma (OEP)
				シンガポール	ＩＮＤ承認	
				香港	ＩＮＤ申請中	
				韓国	ＩＮＤ申請中	
				中国	ＩＮＤ準備中	
	肺がん	Phase Ib/Ⅱ	米国 (実施施設拡大予定)		患者登録中	自社開発
	固形がん	Phase Ⅰ	日本		患者投与中	自社開発
NC-4016	固形がん	Phase Ⅰ	米国		患者投与中	自社開発
NC-6300 /K-912	固形がん	Phase Ⅰ	日本		患者投与中	共同開発 興和
NK105	乳がん	Phase Ⅲ	日本・アジア		平成 27 年度 申請を予定※	ライセンス 日本化薬

※ 平成 26 年 1 月 30 日に対外発表された日本化薬の資料から

上述以外にも、グローバルオファリングで調達した資金を活用し新規開発パイプライン拡充のための研究開発に取り組んでいる。その中心は、抗体などをセンサーとして活用し、次世代型ターゲティング機能の開発を実現する Anti-body/Drug Conjugate Micelles(ADCM)であり、内外の製薬企業やベンチャー企業、研究機関等との間でフィージビリティスタディを推進している。

2014 年 2 月
2014 年 2 月 12 日、同社は株式分割、及び単元株制度の採用について発表した。

2014 年 3 月 31 日を基準日として、1 株につき 100 株の割合をもって分割する。株式分割前の発行済株式総数 402,632 株に対して、株式分割後の発行行済株式総数は 40,263,200 株となる。また同社株式の売買単位は 1 株から 100 株に変更される。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2014 年 1 月

2014 年 1 月 14 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が欧州において特許査定を受けたと発表した。

同社は、これにより NC-6004 ナノプラチン®に関するする特許を米国に加えて欧州でも確保できることとなったとしている。

本発明は、NC-6004 とゲムシタビンの併用による抗がん効果に関するもので、現在実施している臨床試験における基礎的な特許の 1 つである。

- 発明の名称：医薬組成物又は組合せ剤
- 出願番号： 09705599.0
- 特許権者： 同社

2013 年 12 月

2013 年 12 月 26 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®のアジア地域を対象とする第Ⅲ相臨床試験地域の拡大について発表した。

同社は、台湾 Orient Europharma Co.,Ltd（以下、OEP 社）と共同で開発を進めている NC-6004 ナノプラチン®のアジア地域における膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験について、台湾、シンガポール及び香港に加え、治験国拡大のため中国及び韓国においても臨床試験を実施することを OEP 社と合意した。2014 年 1 月の IND 申請に向けて準備を進めている。

Phase Ⅲ試験の概要
対象疾患：転移性および進行性膵臓がん
実施地域：台湾、シンガポール、香港、中国、韓国
試験内容：ゲムシタビンとの併用による有効性検証試験

2013 年 12 月 17 日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が韓国で特許査定を受けたことについて発表した。

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、韓国特許庁から特許査定を受けた。これにより、タンパク医薬品の開発に必要とされるキャリアに関する物質特許を日本、米国に加え、韓国においても特許権を確保できることになる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2013 年 12 月 5 日、同社は、核酸キャリアに関する特許が国内において特許査定を受けたと発表した。

同社は、これにより核酸医薬品を開発するにあたり必要とされる核酸キャリアに関する物質特許を、国内において確保できることとなったとしている。

- 発明の名称：フェニルボロン酸基が導入されたブロックコポリマーおよびその使用
- 出願番号： 特願2013-529476
- 特許権者： 同社、国立大学法人東京大学、東京医科歯科大学

本特許は、ミセル化ナノ粒子技術を用いた核酸医薬開発における重要なキャリアシステムである「NanoFect™」の 1 つで、システム B に相当する特許。システム B は、ミセル化ナノ粒子の直径が約 30～50nm で、生体内に投与した血中内では siRNA を安定的に保持し、細胞内に取り込まれた後に細胞内に多く存在する ATP＊2 によって放出されるシステムである。

2013 年 11 月
2013 年 11 月 22 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が国内において特許査定を受けたと発表した。

同社は、これにより NC-6004 ナノプラチン®に関するする特許を欧州・中国、台湾に加えて国内でも確保できることとなったとしている。

- 発明の名称：シスプラチン配位化合物の液体組成物
- 出願番号： 特願 2010-517837
- 特許権者： 同社、国立大学法人東京大学

2013 年 11 月 18 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が台湾において特許査定を受けたと発表した。

同社は、これにより NC-6004 ナノプラチン®に関するする特許を欧州・中国に加えて台湾でも確保できることとなったとしている。

- 発明の名称：シスプラチン配位化合物の液体組成物
- 出願番号： 098118350
- 特許権者： 同社、国立大学法人東京大学

2013 年 11 月 14 日、同社は、ドセタキセルミセルに関する特許出願がオーストラリアにお

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

いて特許査定を受けたと発表した。

同社は、これによりドセタキセルミセルに関する物質特許を日本・欧州・中国に加えてオーストラリアでも確保できることとなったとしている。

・発明の名称：ドセタキセル高分子誘導体、並びにその製造方法及び用途
・出願番号：　2009250393
・特許権者：　同社

2013 年 10 月

2013 年 10 月 21 日、同社は、2013 年 10 月 7 日に発表した新株式発行および株式売出しに関し、発行価格及び売出価格等が決定したと発表した。

- 公募による新株式発行の発行価格：1株につき268,900円
- 同社株主による株式売出しの売出価格：1株につき268,900円
- オーバーアロットメントによる売出しの売出価格：1株につき268,900円
- 第三者割当による新株式発行の払込金額：1株につき257,460円。

2013 年 10 月 11 日、同社は、2013 年 10 月 7 日に発表した新株式発行および株式売出しに関し、国内引受会社に対し、信越化学工業株式会社（東証 1 部 4063、以下「信越化学社」）への販売を要請することを決定したと発表した。

2013 年 10 月 7 日、同社は、新株発行及び株式売出し並びに主要株主である筆頭株主の異動について発表した。

発行についての概要

同社が今回予定している新株発行及び株式売出しに関しての概要は以下。なお、当該売出しにより、主要株主である筆頭株主の異動が見込まれる。

新株式発行及び株式売出し

- 募集株式の種類及び数：普通株式33,600株（国内一般募集における国内引受会社の買取引受けの対象株式として当社普通株式5,600株、海外募集における海外引受会社の買取引受けの対象株式として当社普通株式28,000株）
- 払込金額の決定方法：2013年10月21日から2013年10月23日までの間のいずれかの日の同社普通株式の普通取引の終値に0.90～1.00を乗じた価格を仮条件とし、需要状況を

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

勘案し決定する
- 募集方法：国内はＪＰモルガン証券株式会社による国内一般募集に係る買取引受けとし、国内の適格機関投資家を対象に一般募集を行う。海外における新株式発行に係る募集はJ.P.Morgan Securities plcに海外に係る全株式を買取引受けさせる
- 払込期日：2013年10月28日から2013年10月30日までの間のいずれかの日

同社株主による株式売出し（海外売出し）
- 売出株式の種類及び数：普通株式8,400株
- 売出価格：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 売出人および売出株式数：ウィズ・ヘルスケアＰＥ１号投資事業有限責任組合：7,700株、シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合：700株
- 売出方法：米国及び欧州を中心とする海外における売出しとし、J.P.Morgan Securities plcの総額買取引受けにより行う

同社株式の売出し（オーバーアロットメントによる売出し）
- 売出し株式の種類及び数：普通株式6,300株（オーバーアロットメントによる国内売出しの対象株式として当社普通株式840株、オーバーアロットメントによる海外売出しの対象株式として当社普通株式5,460株）
- 売出人：国内売出しはJPモルガン証券株式会社、海外売出しはJ.P.Morgan Securities plc
- 売出価格：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 売出方法：オーバーアロットメントによる国内売出しに関しては、国内一般募集の需要状況等を勘案した上で、ＪＰモルガン証券株式会社が同社株主から840株を上限として借入れる同社普通株式の国内における売出し（オーバーアロットメントによる国内売出し）を行う。オーバーアロットメントによる海外売出しに関しては、海外募集及び海外売出しの需要状況等を勘案した上で、J.P. Morgan Securities plc が同社株主からＪＰモルガン証券株式会社を経由して5,460 株を上限として借入れる同社普通株式の米国及び欧州を中心とする海外における売出し（オーバーアロットメントによる海外売出し）を行う。

第三者割当による新株式発行
- 募集株式の種類及び数：普通株式6,300株（国内及び海外におけるオーバーアロットメントによる売出しの対象株式数に対応する）
- 払込金額の決定方法：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 割当先：国内第三者割当増資はJPモルガン証券株式会社を割当先とし、海外第三者割当増資はJ.P.Morgan Securities plcを割当先とする
- 申込期間：2013年11月22日
- 払込期日：2013年11月25日

公募による新株式発行及び第三者割当による新株式発行に伴う発行済株式総数の推移
- 2013年9月30日現在の発行済み株式数：364,352株
- 公募による新株式発行に伴う増加株式数：33,600株

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

- 公募による新株式発行後の発行済株式総数：397,952株
- 第三者割当増資による新株式発行に伴う増加株式数：6,300株（注）
- 第三者割当増資による新株式発行後の発行済株式総数：404,252株（注）

（注）第三者割当による新株式発行は募集株式数の全株に対しJPモルガン証券株式会社及びJ.P.Morgan Securities plcから申し込みがあり、発行がなされた場合の数字

調達する資金の使途

国内一般募集、海外募集、国内第三者割当増資及び海外第三者割当増資による手取概算額合計は11,216百万円であり、資金使途は以下の通りである。

- 主要開発パイプラインの一部及び新規開発パイプラインの試験研究その他の研究開発費用：8,916百万円（2013年11月から2018年10月まで）
- その他の運転資金：2,300百万円（2013年11月から2018年10月まで）

目的と背景

同社では自社開発を進めているシスプラチン誘導体ミセル（NC-6004）及びダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）についてグローバルな視野に立った開発を進めており、早期承認を目指して規模を拡大しながら欧米、日本及びアジア地域における臨床開発を早期・計画的に推し進めるとともに、siRNA、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステムADCM（Antibody Drug-Conjugated-Micelle：プロテアソーム阻害剤）など新規パイプラインの拡充、臨床開発への移行のための研究開発費用として今回の資金調達を行うことを決定した。

2013年9月

2013年9月30日、同社は、株式会社アルビオンとの新たな共同開発契約締結について発表した。

同社とアルビオン社は、2012年7月より、同社のミセル化技術とアルビオン社の商品化等を協働させた化粧品素材の共同開発を進めている。今回、新たな化粧品分野（育毛剤、乳液など）での共同開発および事業化について契約を締結した。

2013年9月25日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が米国で特許査定を受けたことについて発表した。

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、米国特許庁から特許査定を受けた。これにより、ポリマーミセル型タンパク医薬キャリアに関する次世代型プラットフォーム技術に適用可能な物質特許を、日本に加え米国でも確保できることになる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2013 年 9 月 24 日、同社は NC-6004（ナノプラチン®）に関し、中国のライセンス領域許諾に関する覚書締結について発表した。

同社は、NC-6004（ナノプラチン®）に関し、Orient Europharma Co., Ltd.（OEP 社：本社台湾）との間で、アジア地域を対象とする開発及び販売権に加え、全世界を対象とする非独占製造権を付与するライセンス契約を締結している。
現在の契約においては、その対象として中国（本土）は含まれていないが、この度、OEP 社との間で、台湾、香港、シンガポールで実施することを計画している膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験の地域拡大のため、中国を追加することを合意し、併せて、中国をライセンス領域として追加許諾することについて 2 年以内に正式な契約を締結することを合意した。
今後、ライセンス契約の改定を念頭に経済条件（一時金、マイルストーン、ロイヤリティー）の交渉を行う。

なお、本件による 2014 年 3月期業績への影響はない。

2013 年 9 月 17 日、同社は台湾 OEP 社の製造子会社である OP Nano 社への出資決定について発表した。

同社によれば、NC-6004（ナノプラチン®）に関しアジア地域でのライセンス契約を結んでいる Orient Europharma Co., Ltd.（以下、OEP 社：本社台湾）との間で、OEP 社が製造子会社として設立した OP Nano 社（台湾）に出資することを決定したとのこと。（出資金額は１億円または NT＄（台湾ドル）29,500,000 のいずれか低い金額）

同社は、NC-6004（ナノプラチン®）に関し、OEP 社との間で、2012 年 11月、アジア地域を対象とする開発及び販売権に加え、新たに全世界を対象とする非独占製造権を付与するライセンス契約を締結した。当該投資は、このライセンス契約締結時に合意されていたもので、OP Nano 社の事業計画および事業規模が固まり、具体的な投資を決定した。

台湾政府は台湾の国内企業が開発する優れた新薬候補には、医薬品の早期承認取得や薬価の優遇をはじめ、様々な規制をできる限り緩和するとともに、振興・援助策を講じる方針を打ち出している。OEP 社は、NC-6004 が台湾政府の振興策の適用を受ける基準を満たしており、政府の振興策が NC-6004 の開発・承認の迅速化、早期化に大きく貢献するものと期待し、製造子会社である OP Nano 社を設立した。

OP Nano 社では、台湾だけでなく、日・米・欧の製造基準（GMP：Good Manufacturing Practice）を遵守し、各国規制当局の査察をクリアーした世界レベルの製剤を製造し、供給する計画で

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ある。

OP Nano 社および製造工場の概要は以下のとおり。

【OP Nano 社の事業内容】
ミセル化ナノ粒子製剤製造の他、新薬・バイオシミラーなどの（受託）製造

＜製造工場＞
- 投資総額：NT$1,000百万（工場建設に関連する設備等を含む）
- 工場完成時期：2016年12月予定
- 延床面積：8,900m^2
- 場所：Huwei, Yunlin, 台湾

当該投資に伴い、同社から OP Nano 社に取締役（非常勤）を派遣するとともに、2015 年 3 月期以降、ミセル化ナノ粒子製剤の製造に関する技術移転を実施する予定である。

NC-6004 は、2013 年 6月に台湾当局へ膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験開始のためのプロトコルを提出しており、まもなく、患者への投与が開始される予定である。

2013 年 9 月 10 日、同社は 2014 年 3 月期会社予想の修正を発表した。

2014 年 3 月期通期会社予想の上方修正
売上高：416 百万円（前回予想：297 百万円）
営業損失：1,174 百万円（同 1,238 百万円）
経常損失：1,176 百万円（同 1,240 百万円）
当期純損失：1,198 百万円（同 1,262 百万円）

会社予想の修正理由は、主に以下の通りである。
（１）シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004、ナノプラチン®）について、膵臓がんを対象に Orient Europharma Co.,Ltd.と共同で実施した第Ⅰ相/第Ⅱ相臨床試験が終了し、治験の最終段階にあたる第Ⅲ相臨床試験をまもなく開始するが、第Ⅲ相臨床試験で使用する治験薬の Orient Europharma 社に対する供給売上が当初の予想を上回る見込みとなったこと。
（２）株式会社アルビオンとは、ミセル化ナノ粒子と新たな化粧品素材を使用した化粧品の商業化に関する共同開発を進め、本年 10 月に新生「エクラフチュール®」をアルビオン社から発売する予定となっているが、「エクラフチュール®」用原材料の同社に対する供給売上が当初の予想を上回る見込みとなったこと。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2013 年 6 月
2013 年 6 月 25 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®についてアジア地域を対象とした第Ⅲ相臨床試験開始を発表した。

同社は、NC-6004 ナノプラチン®について、台湾 Orient Europharma Co.,Ltd.（以下「OEP 社」）と共同で開発を進めている NC-6004 ナノプラチン®について、、第 I/II 相試験が終了し、ＯＥＰ社が、アジア地域を対象とした第Ⅲ相臨床試験に関する治験計画届書を、6 月 24 日付けで TFDA（Taiwan Food and Drug Administration:台湾食品医薬品局）に提出したとしている。

拡大臨床試験の概要
- 対象疾患：転移性および進行性膵臓がん
- 実施施設：台湾、シンガポール、香港（実施地域については、今後、対象国を追加して行く予定）
- 試験内容：ゲムシタビンとの併用による有効性検証試験

2013 年 6 月 24 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®について米国にて IND 申請を行ったと発表した。

同社は、NC-6004 ナノプラチン®について、米国拡大臨床試験実施に関する治験計画届書を 6 月 21 日付で米国 FDA（Food and Drug Administration：食品医薬品局）に提出したとしている。

拡大臨床試験の概要
- 対象疾患：非小細胞肺がん
- 実施施設：テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターなどの大学病院等を含めた複数の治験施設
- 試験内容：ゲムシタビンとの併用による安全性および推奨投与量決定後、第II相試験において有効性を検討
- 試験期間：投与開始より約2年

2013 年 6 月 20 日、同社は信越化学工業株式会社（東証 1 部 4063）と共同研究契約を締結したと発表した。

同社は自らのコア技術で、抗がん剤等医薬品の開発の中核となる「ミセル化ナノ粒子」の材料であるブロックコポリマーに関し、信越化学工業社と共同研究契約を締結したとしている。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

信越化学工業社の有するポリマーの合成、試作、製造、量産等に関する技術及びノウハウと、同社が有する「ミセル化ナノ粒子」の製造に関する技術及びノウハウとを組み合わせることにより、良質なブロックコポリマーの量産技術を確立することを目指すという。

同社は、本件により高品質なブロックコポリマーの大量生産・安定供給が実現され、本材料が競争的な価格で利用可能となり、将来、ミセル化ナノ粒子技術の活用できる場や範囲が拡大することを期待していると述べている。

2013 年 6 月 19 日、同社は核酸デリバリー用ナノ粒子のプロトタイプを確立したと発表した。

同社はこれまで核酸医薬のデリバリー技術の開発を、東京大学大学院・片岡研究室との共同研究および自社研究の双方で進めてきた。その結果、抗がん作用を有する siRNA などの核酸を用いた薬効評価試験を積み重ねることで、効果が強く特徴の異なる 3 つのシステムの開発に成功したとしている。いずれのシステムもマウスにおける抗がん作用は一回の投与量として約 1mg/kg の siRNA で充分であることを確認済みであり、今後更に効果を上げるための応用を検討中とのことである。

また、ビジネス活動も本格的に開始することとし、この 3 つのシステムを応用したフィージビリティスタディを企業との間で開始しているという。今後は商標を NanoFect^{TM} に統一して企業へのライセンス活動を推進するとともに、自社開発パイプラインとしての可能性を追求していく模様である。

2013 年 5 月
2013 年 5 月 31 日、同社は、ドセタキセルミセルに関する特許出願が中国において特許査定を受けたと発表した。

同社は、これによりドセタキセルミセルに関する物質特許を日本・欧州に加えて中国でも確保できることとなったとしている。

・発明の名称：　ドセタキセル高分子誘導体、並びにその製造方法及び用途
・出願番号：　200980118842.4
・特許権者：　同社

同日、同社はタンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する特許が、日本国特許庁から特許査定を受けたと発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

・発明の名称：　生理活性ポリペプチドまたはタンパク質内包高分子ポリマーミセル及びその製造方法
・出願番号：　2008-525801
・特許権者：　同社

2013 年 5 月 30 日、同社は、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）について米国にて IND 申請を行ったと発表した。

同社は、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）について、米国第 I 相臨床試験実施に関する治験計画届出書を 5 月 29 日付けで米国 FDA（Food and Drug Administration：食品医薬品局）に提出した。

第 I 相臨床試験の概要
対象疾患：進行性や転移性の固形がん
実施施設：テキサス大学 MD アンダーソンがんセンター（Phase I Unit）
試験内容：安全性および忍容性の検討、第 II 相臨床試験における推奨用量決定
試験期間：投与開始より約 1 年半

2013 年 5 月 20 日、同社は、日油株式会社（東証 1 部 4403）と核酸送達用ポリマーの試薬販売に関する非独占ライセンス契約を締結したと発表した。

同社は、日油社と「機能性タンパク質を発現する遺伝子を使用した遺伝子治療分野」について独占的な再実施権を許諾する契約を締結していたが、今回新たに、遺伝子治療以外の分野において、本技術を用いたポリマーの試薬販売に関する、全世界を対象とする非独占的ライセンス契約を締結したとのことである。

今後、日油社は、主に siRNA など核酸治療薬開発の実験目的のために、第 3 者へ本技術を用いた研究用試薬を製造・販売し、同社はその売上に対する一定のロイヤリティを受領することとなる。

同社は本技術のみならず、複数の核酸デリバリーシステムを所有しているため、対象物質に適応するシステムを選択することで、適切な核酸医薬品の開発が期待できるとしている。

2013 年 5 月 13 日、同社は米 Regulus Therapeutics, Inc.（レギュラス）とのマイクロ RNA 治療薬に関するフィージビリティスタディを開始したと発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

本フィージビリティスタディでは、レギュラスがマイクロ RNA 分子を提供し、同社が核酸医薬デリバリーに適したミセル化ナノ粒子技術を用いてマイクロ RNA 分子の製剤化を行い、両社共同で前臨床試験を行うとのことである。

同社は、核酸医薬パイプラインで進めている効率的な全身投与システムの開発に、ミセル化ナノ粒子技術が貢献するものと期待しているとしている。

2013 年 5 月 9 日、同社は NC-6300（K-912）pH 応答性ミセル製剤に関する出願特許が米国において特許査定を受けたと発表した。

同社によれば、興和株式会社と共同で開発を進めている NC-6300（K-912）エピルビシンミセルに関する物質特許を、主要マーケットである日本、欧州に加えて米国においても確保できることになったとのことである。

2013 年 5 月 7 日、同社は NC-6300（K-912）エピルビシンミセルの国内 IND 申請を行ったと発表した。

同社によれば、主要パイプラインの 1 つである NC-6300（K-912）について、ライセンスおよび共同開発先である興和株式会社が、国内第 I 相臨床試験実施に関する治験計画届出書を 5 月 7 日付で独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PDMA）に提出したとのことである。

2013 年 4 月
2013 年 4 月 4 日、同社はダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の製法特許（分割出願）が欧州において特許査定を受けたと発表した。

同社によれば、本特許査定は、2013 年 3 月 21 日にリリースされた欧州特許査定に関し、別ルートでの製造法について別途に特許査定されたものであり、これにより欧州において NC-4016 に関する製造技術を複数の特許権によって併せて複合的に保護できることになったとのことである。

2013 年 3 月
2013 年 3 月 21 日、同社はダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の製造方法に関する出願が欧州において特許査定を受けたと発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2013 年 3 月 19 日、同社は 2013 年 3 月期通期会社予想の修正、ならびに 2014 年 3 月期会社予想を発表した。

2013 年 3 月期通期会社予想の修正
売上高：371 百万円（前回予想 370 百万円）
営業利益：△488 百万円（同△812 百万円）
経常利益：△406 百万円（同△828 百万円）
当期純利益：△461 百万円（同△831 百万円）

同社は修正要因として以下を挙げている。
ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の米国における第 I 相臨床試験の開始、シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）の日本での第 I 相臨床試験及び米国での第 II 相臨床試験の開始が遅れたことにより、開発費の期ずれが発生、2013 年 3 月期の開発費が前回見込みを 335 百万円下回る見通し
為替変動による差益（85 百万円）の発生
固定資産の減損処理費用（35 百万円）、資産除去費用（15 百万円）を特別損失として新たに計上予定

2014 年 3 月期通期会社予想
売上高：297 百万円
営業利益：△1,238 百万円
経常利益：△1,240 百万円
当期純利益：△1,262 百万円

売上高は 2013 年 3 月期と同様、既に契約済の契約に基づくマイルストーン収入及び治験等に必要な製剤供給収入等を主な売上として見込んでおり、今後の事業開発活動の結果として生じる収入については、計画上みていないとしている。

自社研究開発費を含む開発費については、最重要パイプラインである NC-6004 ナノプラチン®及び NC-4016 ダハプラチン誘導体ミセルの米国における臨床試験の開始を予定しているうえ、2013 年 3 月期からの期ずれ分 335 百万円を加味した 1,130 百万円を見込んでいるという。結果、営業損失、経常損失、当期純損失は 2013 年 3 月期から拡大する見通しとなっている。

2013 年 3 月 1 日、同社はセンサー結合型ポリマーミセルに関する物質特許が欧州において特許査定を受けたと発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2013 年 2 月

2013 年 2 月 18 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が欧州において特許査定を受けたと発表した。

2013 年 2 月 13 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が米国において特許査定を受けたと発表した。

2013 年 2 月 7 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が中国において特許査定を受けたと発表した。

2013 年 1 月

2013 年 1 月 16 日、同社はダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の製造方法に関する出願が日本国特許庁から特許査定を受けたと発表した。

2012 年 11 月

2012 年 11 月 9 日、同社は LFB Biotechnologies との共同研究契約についてリリース文を発表した。

同社によれば、LFB Biotechnologies（LFB 社）との間で締結していた共同研究契約を一度終了し、新たな共同研究を模索することで両社合意したとのことである。

- **経緯**

両社は、2010 年 10 月より、LFB 社が有する血友病治療用タンパク質である第 VII 因子を対象に、同社の徐放性ミセル化ナノ粒子技術を利用した新しいミセル化製剤の調製、最適化及び長期安全性を評価するための試験を実施。試験結果をもとに、第 VII 因子ミセルの開発可能性や安全性に関して、議論を重ねてきた。

- **両社間における議論の結論**

第 VII 因子ミセル化製剤に関し、（年少期から一生に亘る長期間、日々第 VII 因子治療を継続して行う必要のある）患者を対象に、（連日投与を必須とした）過酷な条件下で実施する安全性試験には、投与頻度や経路を考慮した、より詳細かつ基礎的な検討が必要であると結論づけられたとのことである。

以上の結論をもとに、本共同研究については一時中断し、第 VII 因子ミセル化製剤の使用方法の再調査あるいは LFB 社が所有する他の製品シーズを利用したミセル製剤の新たな応用法

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

に関する共同研究を目指すことで合意に至ったという。

同日、同社は「株式会社メディネット（東証マザーズ 2370）との共同研究結果に関する報告」とするリリース文を発表した。

同社とメディネット社は 2009 年 10 月に包括共同研究契約を締結し、これまで共同で研究を実施してきた。共同研究において、良好な結果が得られてきたため、今回報告したと述べている。本結果に基づき、両社は更なる共同研究を推進する予定としている。

両社のリリース文を以下に纏める。

共同研究の内容
両社は、すでに腎臓がん治療などで承認を受け、免疫力を高める作用を有するサイトカイン（細胞から放出される体の機能を制御するタンパク質の総称）の一種であるインターロイキン-2（IL-2）を内包するミセル化ナノ粒子を創製し、免疫細胞治療の一つである樹状細胞ワクチン療法との併用効果についての共同研究を実施してきた。

共同研究の結果
マウスのがんモデルに対して、ミセル化ナノ粒子内包 IL-2 と樹状細胞ワクチンの併用は、従来の IL-2 溶液と樹状細胞ワクチン療法の併用に比べて、がんを特異的に攻撃する細胞傷害性 T 細胞（CTL）の誘導を著しく高め、それにより、抗がん作用も大幅に増強することを見出したとのことである。

この効果は、1）ミセル化ナノ粒子に内包された IL-2 が血中で長時間ゆっくり放出されること、2）ミセル化ナノ粒子内包 IL-2 が体内の CTL の増殖する部位であるリンパ節と腫瘍へ移行しやすいこと、によるものと考えられるようだ。IL-2 のリンパ節と腫瘍へ移行は IL-2 溶液では見られないものであり、ミセル化ナノ粒子による徐放性効果と併せ、本発見は従来の樹状細胞ワクチン療法の効果を大幅に高める可能性を示唆するものであるという。

2012 年 10 月
2012 年 10 月 26 日、同社は信越化学株式会社（東証 1 部 4063）への第三者割当による新株式発行を発表した。

本第三者割当概要
発行価額：1 株につき 57,473 円（2012 年 4 月 26 日～2012 年 10 月 25 日の東証マザーズ市場における同社株式終値の平均値に対して 13.59%のプレミアム）
発行新株数：12,000 株

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

調達資金額：689,676 千円
払込期日：2012 年 11 月 15 日
資金使途：主要開発パイプライン及び新規開発パイプラインの試験研究その他の研究開発費用
割当予定先：信越化学社
希薄化率：5.08%（2012 年 10 月 26 日時点の発行済株式総数は 236,395 株）

本件後、信越化学社の持株比率は 9.22%となり、同社の筆頭株主となる予定である。

割当予定先の選定理由
同社は、塩ビ等の分野でリーディングカンパニーである信越化学社と協力的な関係をつくり、研究開発面での基盤強化・拡充を図ることにより、今後、ミセル化ナノ粒子の原材料となるポリマーに関し、品質面を含めた技術基盤を強化していくことが可能になるだろうと述べている。また、本第三者割当にあわせて業務・資本提携は行わないが、今後、両社が原料ポリマー等に関する協力・検討を推し進めた結果、共同研究開発等の業務提携に発展する可能性があるとしている。

割当予定先の保有方針
信越化学社は、同社との協力関係に基づく事業上の相乗効果を最大にすることを目的とした中長期的な株主になることを予定している模様である。

2012 年 10 月 9 日、同社は分子標的薬ベルケイド®（一般名ボルテゾミブ）の DDS 新薬に関する物質特許が日本で特許査定を受けたと発表した。

2012 年 10 月 5 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®の国内第 I 相臨床試験を開始したと発表した。

同社は、NC-6004 ナノプラチン®を最重要パイプラインに位置付け、国内については自社単独で開発を推進する方針としている。新薬治験開始届（IND（Investigational New Drug））申請を 2012 年 6 月 27 日に実施していた。

NC-6004 ナノプラチン®国内第 I 相臨床試験概要
対象疾患：固形がん
実施方法：NC-6004 およびゲムシタビンの併用療法
目標症例数：10 数例

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

試験期間：約 2 年（予定）

同社によれば、先行して台湾およびシンガポールにて行っている NC-6004 の進行性膵臓がんに対する第 II 相臨床試験試験は順調であり、同試験完了後は、膵臓がんの第 III 相臨床試験や他の適応症での第 IIb/III 相などでのグローバル臨床試験を検討していく予定であるとのことだ。

本国内第 I 相臨床試験開始により、将来、海外での第 III 相臨床試験または第 IIb/III 相試験に日本も参画することが可能になるという。

2012 年 10 月 1 日、同社は、NC-6004 ナノプラチン®に対する新規ライセンス及び出資契約の覚書締結を発表。同時に 2013 年 3 月期上期及び通期会社予想の上方修正を行った。

- **NC-6004ナノプラチン®に対する新規ライセンス及び出資契約の覚書締結**

Orient Europharma Co., Ltd.（台湾）に対し、1）全世界を対象とする製造権を付与する新たなライセンス契約、2）Orient Europharma 社の子会社に対する同社の将来の出資契約、をそれぞれ締結する覚書を正式合意したとのことである。

- **会社予想の修正**

同社は、1）（上記覚書締結による）新たな契約収入の発生、2）（上記覚書締結による）製剤供給等による既存の計画を上回る売上高を計上する見込みであること、3）開発費用及び一般販売管理費の期ズレ及び予算経費の効率的な使用、などを利用に会社予想の上方修正を行った。

2013 年 3 月期上期および通期会社予想の上方修正は下記の通り。

2013 年 2 月期上期
- 売上高：99百万円（前回予想89百万円）
- 営業利益：△267百万円（同△509百万円）
- 経常利益：△267百万円（同△510百万円）
- 四半期純利益：△268百万円（同△511百万円）

2013 年 2 月期通期
- 売上高：370百万円（前回予想267百万円）
- 営業利益：△812百万円（同△1,147百万円）
- 経常利益：△828百万円（同△1,164百万円）
- 当期純利益：△831百万円（同△1,167百万円）

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2012 年 9 月

2012 年 9 月 21 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®のアジア Phase I/II 試験の Phase I stage に関する試験結果を日本癌学会学術総会で発表したとするリリースを開示した。

同社と Orient Europharma（台湾）が共同で開発を進めている NC-6004 ナノプラチン®について、Phase I stage の解析結果が第 71 回日本癌学会学術総会にて、治験担当医師の Dr. Wu-Chou Su（所属：National Cheng Kung University Hospital, Taiwan）より発表されたとのことである。

PhaseI 試験は、膵がんの標準治療薬ゲムシタビン（GEM）との併用療法による NC-6004 の最大耐量（MTD : Maximum tolerated dose）および推奨用量（RD : Recommended dose）を決定し、安全性および抗腫瘍効果を確認する目的で実施された。合計 19 例の患者が試験に参加し、NC-6004 の投与スケジュールは、3 週間に 1 回投与（30, 60, 90 または 120 mg/㎡）および GEM は 3 週間に 2 回投与（1000 mg/㎡、1 日目および 8 日目）で行われた。

治験担当医師の Dr. Wu-Chou Su が Phase I stage の解析結果について発表した内容は以下の通り。

- NC-6004 とゲムシタビンとの併用療法は特に問題となる大きな副作用は観察されず、安全性が確認され、MTD は120 mg/㎡、RD は 90 mg/㎡前後と推察された
- シスプラチン投与時に見られる腎毒性などの副作用が認められず、シスプラチン投与時に必要とされるハイドレーション（注）を削減できた
- 予防処置を用いた結果、Pt（プラチナ）製剤で問題となる過敏症の発現が完全に抑制された
- 有効性評価（17 例）において、部分奏効が2例（11.8%）、病勢安定が9例（52.9%）と判定され、病勢コントロール率は64.7% であった
- 全生存期間中央値は12.3ヵ月、無増悪生存期間は5.1ヵ月であった
- 以上の結果から、NC-6004 とゲムシタビンの併用療法が、シスプラチンとゲムシタビンとの併用療法に代わり得る療法となることが期待される

> 注：ハイドレーションとは、水分補給のこと。抗癌剤投与の際に、点滴などによって多量の水準を補給し、排泄を促進することによって薬物の腎障害を低減するために行われる。

当該試験は、現在 Phase II stage を継続して行っている。患者登録は終了しており、年度内には完了する見込みとのことである。また、同社では NC-6004 ナノプラチン®を最重要パイプラインに位置づけており、国内 PhaseI 試験の新薬治験開始届（IND（Investigational New Drug）申請）を 6 月に実施、まもなく国内臨床試験がスタートする予定であるという。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2012 年 7 月

2012 年 7 月 30 日、同社は株式会社アルビオンと新たな化粧品素材の共同開発及びこれによって開発された素材を使用した化粧品の商業化について正式に合意したと発表。契約を締結したことに伴う契約収入等によって、2013 年 3 月期上期、及び通期会社予想の修正を行った。

上期会社予想
- 売上高：89百万円（前回予想：69百万円）
- 営業利益：△509百万円（同△529百万円）
- 経常利益：△510百万円（同△530百万円）
- 純利益：△511百万円（△531百万円）

通期会社予想
- 売上高：267百万円（前回予想：242百万円）
- 営業利益：△1,147百万円（同△1,172百万円）
- 経常利益：△1,164百万円（同△1,189百万円）
- 当期純利益：△1,167百万円（△1,192百万円）

2012 年 7 月 17 日、同社は主要パイプラインの 1 つであるパクリタキセルミセル（NK105）について、ライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が第 III 相臨床試験を開始したと発表した。

2012 年 7 月 10 日、同社は pH 応答性ミセルに関する物質特許がオーストラリアにて特許査定を受けたと発表した。

2012 年 7 月 2 日、同社はドセタキセル DDS 製剤に関する物質特許が日本において特許査定を受けたと発表した。

2012 年 6 月

2012 年 6 月 27 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®の国内 IND 申請を行ったと発表した。

同社は準備を進めていた NC-6004 ナノプラチン®の国内臨床試験実施に関し、医薬品医療機器審査機構（厚生労働省医薬食品局）へ新薬治験開始届（IND（Investigational New Drug）申請）を 6 月 27 日付で提出したと発表。今後、IND 申請（第 I 相臨床試験）が承認され次

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

第、臨床試験を開始する予定とのことだ。

今回申請した国内臨床試験（第 I 相臨床試験）は、固形がんを対象としており、本試験を開始することで、将来、海外での第 III 臨床試験または第 IIb/III 相臨床試験に日本も参画可能となることから、本申請を行うことにしたとしている。

2012 年 6 月 5 日、同社は NC-6004 ナノプラチン® 第 II 相臨床試験の患者登録が終了したと発表した。

同社によれば、同社と Orient Europharma 社（台湾）が共同で開発を進めている、最重要パイプラインの 1 つ「NC-6004 ナノプラチン® 」の膵臓がんに対する第 II 相臨床試験が、プロトコールで規定した投与症例の登録が終了した。これにより、本第 II 相臨床試験は年内に終了する見通しとなり、試験終了後は、欧米を含めたグローバルでの第 III 相臨床試験開始のための準備を進める予定。また現在、国内においても、臨床試験開始のための IND 申請・承認の準備を進めている模様だ。

本試験は、ナノプラチン®（NC-6004）と膵臓がんの標準治療薬であるゲムシタビンとの併用療法で、転移性および進行性膵臓がんの患者を対象とし、その有効性及び安全性を確認する第 I/II 相臨床試験。2011 年 7 月に本第 II 相臨床試験パートを開始したが、台湾およびシンガポールの 5 施設での患者登録は順調に進行し、残り 1 症例の 22 人目の患者が同試験に登録された。

2012 年 5 月
2012 年 5 月 10 日、同社はアルビオン社と新たな化粧品素材の開発を推進して行くための、中長期的な協力関係の構築に向けた基本合意書に調印したと発表した。

同社が所有する最新の医薬品技術を応用した新しい化粧品素材の共同開発を行い、その素材を使用した化粧品をアルビオン社が製品化することで基本合意したとのことである。

2012 年 4 月
2012 年 4 月 26 日、同社はドセタキセル DDS 製剤に関する物質特許が欧州にて特許査定を受けたと発表した。

2012 年 4 月 17 日、同社はセンサー結合型ポリマーミセルに関する物質特許が中国特許庁から特許査定を受けたと発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

2012 年 4 月 4 日、同社は遺伝子キャリアに関する物質特許が欧州にて特許査定を受けたと発表した。

2012 年 3 月
2012 年 3 月 29 日、同社はエーザイ社と共同研究契約を締結したと発表した。

同社によれば、本共同研究では、同社の基盤技術であるミセル化ナノ粒子技術をエーザイ社所有の薬物に適応することで、当該薬物の更なる研究開発のステージアップの可能性を検証するとのことである。共同研究期間は最長 2 年間で、経済条件、対象薬物名及び対象疾患等は非公開とされている。ちなみに、本契約締結は、株式会社ウィズ・パートナーズの協力を得て行われた模様だ。

2012 年 2 月
2012 年 2 月 28 日、同社は 2012 年 3 月期通期会社予想の修正を発表した。

通期会社予想の修正
- 売上高：340百万円（前回予想：440百万円）
- 営業利益：△360百万円（同△512百万円）
- 経常利益：△390百万円（同△514百万円）
- 当期純利益：△430百万円（△516百万円）

同社は会社予想の修正の理由について、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）、シスプラチン誘導体ミセル®（NC-6004）について、2012 年 1 月に発表した第三者割当増資により自社開発を優先するため、2012 年 3 月期中に予定していたライセンス契約締結による売上計上を見送る一方、売上総利益は改善、研究開発費及び一般管理費の支出が当初見込みを下回るためとしている。なお、経常損失には、第三者増資に伴う発行費用等も織り込まれている。

2012 年 **2** 月 **9** 日、同社は 2012 年 3 月期第 3 四半期決算を発表した。

2012 年 1 月
2012 年 1 月 26 日、同社は、第三者割当による転換社債型新株予約権付社債及び新株予約権の発行について発表した。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

発行についての概要

同社が今回発行予定としているのは、第 1 回及び第 2 回転換社債型新株予約権付社債及び第 8 回新株予約権であり、その概要は以下。

第 1 回転換社債型新株予約権付社債

払込期日：2012 年 3 月 21 日
発行価額：30 百万円（新株予約権の総数は 28 個）
当該発行による潜在株式数：29,988 株
資金調達の額：840 百万円
転換価額：28,000 円
割当予定先：第三者割当により、ウィズ・ヘルスケア PE1 号投資事業有限責任組合に 780 百万円、シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合に 60 百万円

第 2 回転換社債型新株予約権付社債

払込期日：2012 年 3 月 21 日
発行価額：20 百万円（新株予約権の総数は 43 個）
当該発行による潜在株式数：30,702 株
資金調達の額：860 百万円
転換価額：28,000 円
割当予定先：第三者割当により、ウィズ・ヘルスケア PE1 号投資事業有限責任組合に 800 百万円、シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合に 60 百万円

第 8 回新株予約権

払込期日：2012 年 3 月 21 日
発行価額：15 百万円（新株予約権の総数は 67 個）
当該発行による潜在株式数：67,000 株
資金調達の額：2,025 百万円（新株予約権発行分：15 百万円、新株予約権行使分：2,010 百万円）
行使価額：30,000 円
割当予定先：第三者割当により、ウィズ・ヘルスケア PE1 号投資事業有限責任組合に 62 個、シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合に 5 個

希薄化率と臨時株主総会の開催

第 1 回転換社債型新株予約権付社債、第 2 回転換社債型新株予約権付社債及び第 8 回新株予約権に係る潜在株式数は、上記のとおりそれぞれ 29,988 株、30,702 株、67,000 株、合計 127,690 株となっており、これは 2012 年 1 月 25 日現在の発行済株式総 数 234,885 株に対して、合計 54.4%の希薄化率となる。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

今回の第三者割当の方法による本新株予約権及び本新株予約権付社債の全てが転換及び行使された場合は、同社株式は 25%以上の希薄化が生じることになる。そのため、同社は、東京証券取引所の規定（有価証券上場規程第 432 条）に基づき、本第三者割当の必要性及び相当性について、普通決議による当社株主の意思確認を実施するために、2012 年 3 月 19 日に臨時株主総会を開催することを決議したとしている。

調達する資金の具体的な使途

- ナノプラチン®（NC-6004）の臨床開発並びに原薬及び製剤製造費用：2,760百万円（支出予定時期は2012年4月から2016年3月まで）
- ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の臨床開発並びに原薬・製剤製造費用：912百万円（支出予定時期は2012年4月から2016年3月まで）

目的と背景

同社は資金調達の理由について、以下の点を挙げている。

- ナノプラチン®（NC-6004）及びダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）を自社開発する戦略へと大きく転換を行うため（ライセンスアウトや共同開発を行うことができる提携先の開拓は引き続き継続）
- 自社開発は多額の開発資金を必要とするものの、開発の進捗を自らコントロールし、より計画的に開発を進めることができるとともに、開発段階を進捗させ、製品価値を増大することにより、それぞれの製品が持つ製品価値の最大化を実現することが可能と考える
- ナノプラチン®（NC-6004）は、日本及び海外で自社による開発を進める予定。臨床試験を含め、治験費用や薬剤製造費用など日米欧の主要マーケットでの承認・上市までに2,760百円が必要と想定
- ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）は、第II相臨床試験終了後はライセンス先に導出し、ライセンス先が開発費用を負担し、その主導で開発を進める予定。したがって導出可能なステージにまで進めるために、日本での臨床試験を含め、治験費用や製造費用など912百万円が必要と想定している
- 同社の事業はまだ先行投資の段階にあり、当面、研究開発費等の投下経費が収益を上回る状況が続く見込み。資金調達手段として、直接金融に依拠せざるを得ない
- 本新株予約権および本転換社債型新株予約権の行使は、比較的長期間にわたって徐々に実行されるため、希薄化は、新株式のみを一度に発行する場合と比べて抑制できると考えた

割当予定先

- ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業有限責任組合

独創的な科学上の発見や技術革新をもとに医薬品開発を進める企業に投資をすることを目的として 2011 年 4 月に組成。出資総額は 3,220 百万円（予定）であり、出資者（出資比率）は、独立行政法人中小企業整備基盤機構（31.1%）、日本トラスティ・サービス信託銀行株式

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

会社（15.5%）、ウィズ・パートナーズ社（11.5%）など。

- シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合

情報通信、ナノテクノロジー、新材料、新製造技術、ライフサイエンス、環境・エネルギーを主とする分野において、日本経済に活力を与え、また次世代の産業基盤を構築できると期待されるベンチャー企業に投資をすることを目的として 2006 年 9 月に組成。出資総額は 2,700 百万円（予定）であり、出資者（出資比率）は、独立行政法人中小企業整備基盤機構（37.0%）、日本トラスティ・サービス信託銀行株式会社（29.6%）、ウィズ・パートナーズ社（18.5%）など。

2012 年 1 月 11 日、同社は核酸医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、日本国特許庁で特許査定を受けたと発表した。

トップ経営者

代表取締役:
中冨一郎博士は 1996 年 6 月以降同社の代表取締役社長 CEO を務めている。久光製薬株式会社でのキャリアの後、米国セラテック社で事業開発担当副社長を務め、後に日本セラテック株式会社の代表取締役社長となった。iPS アカデミアジャパン株式会社の社外取締役でもある。

取締役:
花田博幸氏は、取締役 COO （Chief Operating Officer）兼開発部長 を務めており、同職就任は 2008 年 6 月。2007 年 12 月にナノキャリア顧問、ついで 2008 年 5 月に事業開発部長の職に就いた。それ以前はアンジェス MG 株式会社の顧問を務め、同社以前は、生化学工業株式会社の執行役、さらに株式会社そーせいの開発部門長を歴任。同氏のキャリアは 1980 年の久光製薬に始まる。

加藤泰己博士は、2005 年 7 月から取締役 CSO （Chief Scientific Officer） を務めている。ナノキャリアへの参画以前は、協和発酵工業株式会社に 22 年間在籍し、直近では医薬研究センター部長を務めた。

中塚琢磨氏は、取締役 CFO （Chief Financial Officer）および社長室長で、2011 年 6 月同職に就任。同氏は 1976 年に国家公務員上級職に採用された。その後、三井住友海上火災保険株式会社、グッドウィルグループ株式会社（1999 年 4 月入社）を経た後、アンジェス MG 株式会社取締役 CFO（2003 年 9 月入社）、株式会社西原環境代表取締役社長（2008 年 1 月就任）などを務めた。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

岡野光夫博士（非常勤取締役）は、ナノキャリア技術の中心的な発明者の一人であり、研究開発の方向性への助言および重要な戦略的判断の決定にあたって重要な役割を果たしている。同博士は、東京女子医科大学ならびに米国ユタ大学の教授であり、先端生命医科学研究所所長も務める。その研究専門は生体材料、人工臓器、DDS、組織再生などである。

大橋彰医学博士（非常勤取締役）は、臨床開発におけるその豊かな経験や知識に基づいて臨床/非臨床的プログラム戦略および同社のプロジェクトの実行に関する助言や情報提供を行う主要メンバーである。

松村淳氏は、2012 年 3 月より非常勤取締役を務めている。ウィズ・パートナーズ社代表取締役副社長であり、同社は松村氏の経験と幅広い人脈を基に製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

飯野智氏は、2012 年 3 月より非常勤取締役を務めている。ウィズ・パートナーズ社執行役員であり、同社は飯野氏の経験と幅広い人脈を基に製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

アドバイザー:
ウィズ・パートナーズ社取締役、元武田薬品工業株式会社（東証 1 部 4502）の研究アライアンス室長である藤澤朋行氏が同社のアドバイザーを 2012 年 4 月より務めている。

サイエンティフィック・アドバイザー:
同社は、東京大学の片岡一則教授および筑波大学（学際物質科学研究センター）の長崎幸夫教授と顧問契約を結んでいる。片岡教授は新規技術に関する助言を行い、長崎教授は siRNA の応用を中心として助言を行っている。

従業員

2013 年 3 月末現在、常勤スタッフは 36 名。平均年齢は 41.2 歳である。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

大株主

大株主上位10名	所有株式数の割合
信越化学工業株式会社	7.37%
ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業組合	6.58%
日本トラスティ・サービス信託銀行株式会社	5.56%
中冨　一郎	3.44%
興和株式会社	3.38%
日本マスタートラスト信託銀行株式会社	2.67%
Cyntec Co., Ltd. （OEP社）	2.53%
松井証券株式会社	2.29%
MSIP CLIENT SECURITIES	1.20%
岡野　光夫	0.94%

出所：会社データよりSR社作成

（2013 年 3 月末現在）

配当および株主還元

2014 年 3 月期時点で配当を含め、株主還元策は実施されていない。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ところで

用語集

基本的なナノキャリア関連のバイオ用語

DNA（デオキシリボ核酸）
生物の全遺伝情報を含む核酸。タンパク質合成のような、生命維持に必要なプロセスに関する情報の格納場所、あるいは指示コードの鋳型として機能する。その情報を実際に保有している DNA 分子のセグメントを遺伝子と呼ぶ。

pH
国際的な合意に基づいた相対的尺度による酸性度の指数。純水は pH7 に近い中性 pH。pH7 未満の環境は「酸性」と呼ばれ、pH7 を超える環境は「アルカリ性」または「塩基性」と呼ばれる。血漿はわずかにアルカリ性で pH7.35 程度である。この値は、身体がストレスなしに機能するために最適なレベルであり、生理的 pH と呼ばれる。

RNA（リボ核酸）

- **DNA**にやや類似する核酸。異なるのは、DNAが2本鎖であるのに対してRNAは通常1本鎖という点である。これは、RNAの極めて重要な特徴であり、例えばタンパク質の合成に必要な情報の運搬といった役割を果たす。
- **mRNA**（伝令RNA）
  情報をDNAからリボソーム（RNAとタンパク質の組み合わせ）まで運ぶもので、リボソームでは続いてタンパク質が作り出される。
- **RNA干渉**（RNAi）
  遺伝子がサイレンシング（複製の阻止）されるプロセスであり、ウイルスに対する身体本来の防御機能の一部。特定の有害な体内プロセスをサイレンシングすることが可能であると研究者が発見した際には、医学および生命工学ベンチャーの耳目を集める話題となった。RNAiでは、siRNAの断片が「敵対」RNAとカップリングして情報を運ぶことを阻止し、敵対細胞を効果的に死滅させる。RNAiは、転写後遺伝子サイレンシング（PTGS）と呼ばれることもある。
- **siRNA**
  低分子干渉RNA、「短干渉RNA」または「サイレンシングRNA」とも呼ばれる。RNA干渉に関与するRNAの分類。siRNAの発見は、1999年Science誌で最初に発表された。
- **アンチセンスRNA**
  mRNAと相補性を持つ1本鎖のRNAであり、mRNAと巧妙に結合する。アンチセンスRNAを相補的mRNAと結合させて翻訳機構を物理的に妨害することによって、細胞機能を妨げることに利用できるかもしれない。医薬的利用は今のところ見出しづらいとされている。アンチセンスRNAはRNA干渉（RNAi）とは異なる。
- **他のRNA種**
  20種以上のRNAが存在する。tRNA（転移RNA、タンパク質の産生に不可欠）、rRNA（リ

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ボソームRNA、触媒）が重要であると思われる。

アミノ酸
アミノ酸はタンパク質の構成要素をなす。約 300 種の既知のアミノ酸が存在し、そのうち約 20 種がタンパク質合成に関与している。

ウイルス
通常は 10～300 ナノメートルの大きさの感染性因子であり、宿主細胞内でのみ繁殖することができる。ウイルスは、細胞構造を利用してウイルス自身の DNA または RNA を複製することによって細胞を乗っ取る。通常は、ウイルスが急速に繁殖する一方で宿主細胞は死ぬことになる。ウイルスは、人間における外因性疾患源の最も重大なものの一例である。

エンドサイトーシス
物質が細胞膜を通らずに細胞内に取り込まれること。言い換えれば、細胞が物質を「飲み込む」こと。

（化学）結合
原子や分子が互いに結びつくプロセス。

核酸
遺伝情報を保有・運搬し、また細胞内での構造をなす高分子。最も一般的なものは DNA および RNA であり、これらはすべての細胞およびウイルス中に見出せる。

共有結合
原子が電子（マイナス電荷を有する原子より小さい粒子）を共有することによって互いに結びつく（結合する）ことである。

血漿
水のような溶液（ほとんど水）で、血液の主要構成成分で、その量の半分以上を占める。血液細胞にとっての自然環境である。

抗体（免疫グロブリン、Ig）
細菌やウイルスなどの外来物質への反応として免疫システムが作り出す、固有のタンパク質。侵入細胞を死滅させるか、その死滅を助ける。異なる防御機能を持つ 5 種類の抗体が存在する。

高分子
大きな分子。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

高分子ミセル
ブロック重合体（ブロックポリマー）から形成され、球状の内核および外殻を有する高分子の集合体。

細胞
生物を構成する最小単位。細胞は、本質的にはある程度自律した有機分子の集まりであり、それが属する生物の機能および生殖に必要な情報を含む。

サイトカイン
短命の分子の分類で、タンパク質である場合が多く、ある種の細胞によって、自身および他の細胞の機能に影響を与えるために作り出される。基本的に、これらは細胞に特定の反応（たとえば特定の化学物質を作り出す）を起こさせるシグナル伝達（メッセンジャー）因子である。サイトカインは免疫機構において重要な機能を持つ。

ジアミノシクロヘキサン白金（DACHPt；ダハプラチン）
有機白金化合物であり、オキザリプラチンの基本構成要素。

（分子の）自己集合
自己会合とも呼ばれ、無秩序の系が、その構成要素間の相互作用によって自然に規則正しい構造を形成するプロセスをいう。

重合体（ポリマー）
化学結合（共有結合）によって連結された反復構造からなる高分子。

- **共重合体（コポリマー）**
  1種類以上の単量体からなる重合体。1種のみの単量体を使用した場合は同種重合体となる。
- **単量体（モノマー）**
  他の単量体と結合して重合体を形成することができる小分子（通常は有機分子）。最も有名な単量体は、ブドウ糖およびアミノ酸である。アミノ酸は、タンパク質という重合体を形成する天然の単量体である。
- **同種重合体（ホモポリマー）**
  単一の単量体の鎖からなる重合体。
- **ブロック共重合体（ブロックコポリマー）**
  ２種以上の同種重合体の単位が共有結合によって結合された共重合体。

親水性分子
水と一時的結合を形成する分子。言い換えれば、これらは「水を好む」性質を持つ。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

疎水性分子
水と反発する分子。言い換えれば、これらは「水を嫌う」性質を持つ。

タンパク質
アミノ酸からなる有機化合物。人体の主要な構造部分をなしている。人体組織の構成要素として、あるいは生化学的反応の制御を補助する「酵素」（生体触媒）として作用することができる。

ナノサイズ
ナノスケール、すなわちナノメートルで測定される大きさ。ナノメートルは 1 メートルの 10 億分の 1 である（1/1,000,000,000）。通常は、1～100 ナノメートルの大きさの話をする場合に「ナノスケール」という用語を使う。

白金（Pt）
化学元素であり、かつ貴金属。白金は高い細胞毒性（細胞に対して毒性であること）でも知られている。実際には、DNA 合成を阻害（妨害または減少）して細胞の分裂を妨げる。

分子
強力な化学結合によって明確な構造が保たれている、安定した原子の集団。有機（生物学的起源）あるいは無機（鉱物起源）の分子がある。有機分子は必ず炭素を含むが、炭素を含むすべての分子が有機であるわけではない。

ペプチド
αアミノ酸と呼ばれる特定のアミノ酸同士が結合した場合に形成される小重合体。これらのアミノ酸は、すべてのタンパク質の構成要素である。

ポリエチレングリコール（PEG）
ポリエーテルという有機化合物の一種として広く知られている。我々が関心を寄せるのは、水溶性があり、一部の疎水性分子と結合した場合に界面活性剤（ミセルの構成要素）を形成できることである。

ミセル
水性コロイド中に分散している界面活性剤と呼ばれる細胞の集まり（凝集体）。コロイドとは、2 種類の物質が互いに均一に分散している混合物である。溶液とは異なり、これらの物質は、通常はその粒子が溶けるには大きすぎるため、懸濁しているだけであって溶解はしていない。コロイドの例は牛乳である。界面活性剤とは、疎水性の「尾部」および親水性の「頭部」をどちらも含むタイプの分子である。この特徴により、界面活性剤は何にでも溶けることができる。水中で一定の濃度に達すると、これらは小さな球状の構造を形成するが、その際、それぞれの界面活性剤分子の疎水性尾部が内部に隠れて内核を形成し、親水性頭部が外部に突

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

出して外殻を形成する。ミセルは、石けんまたは洗剤に似た作用をすることができ、不溶性の粒子がミセル内核（それ自体も不溶性であり、基本的には油である）に拾われてその内部に包み込まれ、「洗浄」効果を示す。これがまさにナノキャリアの技術のポイントであり、小さなミセルが不溶性かつ有毒であることも多い薬物を包み込み、血液中を運ぶことができる。

リガンド
特にタンパク質または核酸と結合するシグナルトリガー分子であり、例えば医薬物質とターゲットとなるがん細胞との結合を可能にするナビゲーション・ブイまたはセンサーとしての役割を果たす。

有機金属化合物
炭素・金属間の結合を持つ化合物。金属が白金である例が有機白金化合物である。ダハプラチンは有機白金化合物の例である。

医薬品関連用語の基礎知識

DDS（薬物送達システム）
薬物が身体から放出、吸収、分布または排除される方法を改変することによって、薬剤プロファイルを改善する技術である。目的は薬物を身体内のターゲット部位に送達することである。簡単に言えば、DDS とは薬剤送達のシステムである。

GMP
医薬品の品質管理基準（Good Manufacturing Practice）の略であり、同社の事業背景との関連では、International Conference on Harmonization （ICH）によって認可されている研究開発・製造ガイドラインの一部にあたる。

アクティブ・ターゲティング
部位特異性**リガンド**、またはシグナル伝達分子を用いて薬物をターゲット臓器に運ぶことからなる、非浸潤性の治療手段である。これらの分子はセンサーとして働き、ミセルが運ぶ薬物と結合している場合は薬物送達効率を向上させる。

アブラキサン
Abraxis Bioscience Inc.が開発販売している抗がん剤であり、最初に市販された DDS 抗がん剤の一つ。パクリタキセルをベースとし、送達システムとしてアルブミン（水溶性血清タンパク質）を使用している。

インヴィトロ（In Vitro）
生体組織外部の制御された環境で行うプロセスを意味する。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

インヴィヴォ（In Vivo）
動物やヒトといった生体を使って行うプロセスを意味する。

オキザリプラチン
シスプラチンと同族の白金系抗がん剤である。1976 年に日本で発見され、Debiopharm にライセンスアウトされた。Debiopharm は、オキザリプラチンを大腸がん治療薬として開発し、1994 年に Sanofi-Aventis にライセンスした。1999 年に欧州で、2004 年に米国での販売が認可された。Sanofi-Aventis はこれを商品名 Eloxatin として販売している。新規化学成分としての特許は 2007 年に期限切れを迎えたが、結腸がんの治療におけるさまざまな用途に関しては 2013～2016 年まで特許保護される。

契約一時金（アップフロント）
通常ライセンス契約の開始時に行われる現金または株式の支払である。

抗体結合型ミセル
同社が開発した化合物の種類である。結合（コンジュゲード）とは、共有結合を介して生体分子を組み合わせた生成物である。抗体などのセンサーを薬物が封入されたミセルと結合させ、薬物送達効率を向上させるために使用することができる。

シスプラチン
白金系がん治療（抗がん）薬の一種。1978 年 FDA に認可され、カルボプラチンおよびオキザリプラチンを含む薬物群では最初の（認可）薬であった。DNA まで浸透し、細胞分裂を妨害する。最終的には細胞死を引き起こす有機白金化合物を身体内で形成することによって作用する。静脈内投与で、最も広く使用されている抗がん剤の一つである。広く使用され非常に有効な抗がん剤でありながら、重度の副作用を伴うため使用量に制限がある。

シスプラチン内包高分子ミセル
ミセルの核内部にシスプラチンを封じ込めた高分子ミセルである。

代謝物
生命の維持のために有機体が行う一連の化学反応の生産物。

タキソール
Bristol-Myers Squibb から販売されているパクリタキセルで、パクリタキセルをヒマシ油配合物（クレモホール EL）およびエタノールに溶解したものである。

ダハプラチン誘導体ミセル
ナノキャリアが開発した、ジアミノシクロヘキサン白金（Dach プラチン）を封入した新しいミセルである。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

ドセタキセル
一般名ドセタキセルは、タキサン抗がん剤群の一つであり、乳がん、非小細胞肺がん、胃がん、子宮がん、前立腺がんなどの幅広い適応症で使われている。

ナノプラチン
同社が開発した薬物の商標（主要パイプライン参照）であり、ナノミセル技術を利用して作り出されたシスプラチン内包高分子ミセルである。特許保護される。

パクリタキセル
抗がん剤の一般名である。1967 年に米国で発見され、珍しいタイヘイヨウイチイの樹皮から単離された。Bristol-Myers Squibb によって商品開発され、タキソールとして販売されている。これは、別の薬剤ドセタキセル（タキソテールとして販売）・アブラキサンと共にタキサンと呼ばれる抗がん剤群を形成する。

マイルストーン
研究開発または臨床試験のマイルストーン達成と関連づけられた現金収入である。

薬物キャリア
薬物のターゲット領域への分布を向上させるように働く物質である。

臨床試験
所定の試験計画に従ってヒトを対象に行う生物医学または健康に関する調査研究であり、新薬、治療、または装置の安全性および効能を確認するために実施する。臨床試験は、第 I、II、III、IV 相といった数段階から成る。

第 I 相臨床試験
少人数のグループに対して行う新薬の試験であり、ほとんどの場合は健常者が対象となる。安全性の評価、安全な投与量の範囲決定および副作用の調査を目的とする。

第 II 相臨床試験
中規模の人数のグループに対して行われる探索的試験で、薬効、安全性、用量反応の確立を目的とした試験である。第 I 相と第 II 相試験は合わせて行われることがある。

第 III 相臨床試験
通常大人数の患者グループでの無作為化試験であり、類似条件下で従来治療と比較した薬効と安全性の確認を目的としている。当該試験が成功した場合、認可に向けて試験結果が規制当局に提出される。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

第 IV 相臨床試験（市販後調査試験）
さまざまな患者集団における認可薬の効果と安全性、時には長期にわたる安全性について調査する。

第 0 相臨床試験
近年 FDA（アメリカ食品医薬品局）が定めたヒトに対する試験段階で、 FDA の「探索的治験薬研究」に関する 2006 年ガイドラインに基づき治療レベルを下回るごく少量の投薬で行われる。第 0 相は、化合物の安全性や薬効に関してではなく、化合物が生体外試験や動物試験の段階と同じ働きをするかどうかのデータを提供する。

ロイヤリティ
ライセンスアウトした製品の収入に関連して支払われる報酬。売上額の一定割合または固定額である。

IND（Investigational New Drug）申請・承認
臨床試験（治験）を実施するにあたり、治験実施申請資料を当局へ提出し、治験審査委員会から治験実施計画の承認を得ること。

無増悪生存期間（PFS：Progression-Free Survival）
病勢の進行がみられない状態で患者が生存している期間。

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

企業概要

企業正式名称	本社所在地
ナノキャリア株式会社	277-0882 千葉県柏市柏の葉 5-4-19 電話:047-169-6550
代表電話番号	**上場市場**
03-3548-0213（東京オフィス）	マザーズ（東京）
設立年月日	**上場年月日**
1996 年 6 月 14 日	2008 年 3 月 5 日
HP	**決算月**
http://www.nanocarrier.co.jp/	3 月
IR コンタクト	**IR ページ**
	http://www.nanocarrier.co.jp/ir/index.html
IR メール	**IR 電話**
info@nanocarrier.co.jp	03-3548-0217

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved

会社概要

株式会社シェアードリサーチは今までにない画期的な形で日本企業の基本データや分析レポートのプラットフォーム提供を目指しています。さらに、徹底した分析のもとに顧客企業のレポートを掲載し随時更新しています。

SR社の現在のレポートカバレッジは次の通りです。

アートスパークホールディングス株式会社
あい ホールディングス株式会社
アクリーティブ株式会社
株式会社アクセル
アニコムホールディングス株式会社
株式会社アパマンショップホールディングス
アンリツ株式会社
イオンディライト株式会社
株式会社イエローハット
株式会社伊藤園
株式会社インテリジェント　ウェイブ
株式会社インフォマート
株式会社エス・エム・エス
SBSホールディングス株式会社
エレコム株式会社
エン・ジャパン株式会社
株式会社オンワードホールディングス
株式会社ガリバーインターナショナル
キヤノンマーケティングジャパン株式会社
KLab株式会社
グランディハウス株式会社
株式会社クリーク・アンド・リバー社
ケネディクス株式会社
株式会社ゲームカード・ジョイコホールディングス
ケンコーコム株式会社
コムシスホールディングス株式会社
株式会社ザッパラス
サトーホールディングス株式会社
株式会社サニックス
株式会社サンリオ
Jトラスト株式会社
GCAサヴィアン株式会社
シップヘルスケアホールディングス株式会社
株式会社ジェイアイエヌ
ジャパンベストレスキューシステム株式会社
スター・マイカ株式会社
株式会社スリー・ディー・マトリックス
株式会社ダイセキ
株式会社高島屋
タキヒヨー株式会社
株式会社多摩川ホールディングス
株式会社チヨダ
DIC株式会社
株式会社デジタルガレージ
株式会社TOKAIホールディングス
株式会社ドリームインキュベータ
株式会社ドン・キホーテ
内外トランスライン株式会社
ナノキャリア株式会社
日進工具株式会社
日本エマージェンシーアシスタンス株式会社
日本駐車場開発株式会社
株式会社ハーモニック・ドライブ・システムズ
株式会社ハピネット
パナソニック インフォメーションシステムズ株式会社
株式会社バルス
ピジョン株式会社
フィールズ株式会社
株式会社フェローテック
フリービット株式会社
株式会社ベネフィット・ワン
株式会社ベリテ
株式会社ベルパーク
松井証券株式会社
株式会社マックハウス
株式会社 三城ホールディングス
株式会社ミライト・ホールディングス
株式会社メディネット
株式会社モブキャスト
株式会社夢真ホールディングス
株式会社ラウンドワン
リゾートトラスト株式会社
株式会社良品計画
レーザーテック株式会社
株式会社ワイヤレスゲート

※投資運用先銘柄に関するレポートをご所望の場合は、弊社にレポート作成を委託するよう
各企業に働きかけることをお勧めいたします。また、弊社に直接レポート作成をご依頼頂くことも可能です。

ディスクレーマー

本レポートは、情報提供のみを目的としております。投資に関する意見や判断を提供するものでも、投資の勧誘や推奨を意図したものでもありません。SR Inc.は、本レポートに記載されたデータの信憑性や解釈については、明示された場合と黙示の場合の両方につき、一切の保証を行わないものとします。SR Inc.は本レポートの使用により発生した損害について一切の責任を負いません。
本レポートの著作権、ならびに本レポートとその他Shared Researchレポートの派生品の作成および利用についての権利は、SR Inc.に帰属します。本レポートは、個人目的の使用においては複製および修正が許されていますが、配布・転送その他の利用は本レポートの著作権侵害に該当し、固く禁じられています。
SR Inc.の役員および従業員は、SR Inc.の調査レポートで対象としている企業の発行する有価証券に関して何らかの取引を行っており、または将来行う可能性があります。そのため、SR Inc.の役員および従業員は、該当企業に対し、本レポートの客観性に影響を与えうる利害を有する可能性があることにご留意ください。
SR Inc.の代表取締役は、本レポートの対象となる企業（株式会社ベルパーク）の社外取締役に就任しています。このことが、現在および将来において、直接的もしくは間接的に本レポートに記載される特定の見解に影響することはありません。

金融商品取引法に基づく表示

本レポートの対象となる企業への投資または同企業が発行する有価証券への投資についての判断につながる意見が本レポートに含まれている場合、その意見は、同企業からSR Inc.への対価の支払と引き換えに盛り込まれたものであるか、同企業とSR Inc.の間に存在する当該対価の受け取りについての約束に基づいたものです。

連絡先

http://www.sharedresearch.jp
Email: info@sharedresearch.jp

株式会社シェアードリサーチ
東京都文京区千駄木 3-31-12
電話番号　(03) 5834-8787

Copyright (C) Shared Research Inc. All Rights Reserved